

Compte-rendu

Direction : Europe et Innovation (DEI)

Pôle : Pédiatrie, Essais Précoces et Innovation Thérapeutique (PEPIThe)

Personnes en charge : Céline Chu/Sylvie Benchetrit

CSP Pédiatrie

Séance du 05 06 2026

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 03 avril 2026 Point sur les déclarations publiques d'intérêts	Pour avis (10h30-11h)
2	Info Médicament : perspectives en pédiatrie	Pour discussion (11h-12h)
	<i>Déjeuner</i>	
3	Retour Enpr-EMA	Pour discussion (13h30-14h30)
4	Evaluations de plans d'investigation pédiatrique (PIPs) - PIP dans le traitement de la maladie de Duchenne - PIP dans le traitement de l'encéphalopathie développementale et épileptique causée par des variants à gain de fonction du gène SCN2A	Pour discussion (14h30-16h)
5	Tour de table - Bilan des mandatures actuelles - Discussions	16h-16h30

Membres et autres participants

Nom des participants	Statut	Présent sur site	Présent visio	Absent/excusé
BAHANS Claire	Membre CSP	☐	☒	☐
BERRUE-GAILLARD Hélène	Membre CSP	☐	☐	☒
BERTHAUD Romain	Membre CSP	☒	☐	☐
BOILEAU Pascal	Membre CSP	☒	☐	☐
BOUQUET Sylvain	Membre CSP	☒	☐	☐
FLAMEIN Florence	Membre CSP	☒	☐	☐
HUET-SALVETAT Isabelle	Membre CSP	☐	☐	☒
KAGUELIDOU Florentia	Membre CSP	☒	☐	☐
LEBLANC Claire	Membre CSP	☐	☐	☒
PINEAU-VINCENT Fabienne	Membre CSP	☒	☐	☐
PORTEFAIX Aurélie	Membre CSP	☐	☐	☒
PROT-LABARTHE Sonia	Membre CSP	☐	☐	☒
SPITZ Marie-Aude	Membre CSP	☒	☐	☐

Participants ANSM

Nom des participants	Statut	Présent sur site	Présent visio	Absent/ excusé
BENCHETRIT Sylvie	Référente pédiatrie	☒	☐	☐
CHU Céline	Evaluatrice pédiatrie	☒	☐	☐
HULIN Nina	Cheffe de pôle PEPIThe	☒	☐	☐
FARENQ Pierre-Olivier	Directeur DEI	☒ Sujet 1	☐	☐
COUTINHO Thaïs	DSI	☒ Sujet 2	☐	☐
VIERS Vincent	DSI	☒ Sujet 2	☐	☐

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 : NON.

Liens identifiés

Dossier	Nom Prénom	Type de lien (cf. diagramme d'aide à l'analyse)	Niveau de lien	Période	Si lien niveau 2
GNT0004	Florence Flamein	2.3.2. co-investigateur	1	10/2022 à aujourd'hui	Sorti ☐ Absent ☐ Présent ☐
GNT0004	Marie-Aude Spitz	2.3.2. co-investigateur	1	09/2020 à aujourd'hui	Sorti ☐ Absent ☐ Présent ☐

Dossiers

Nom du dossier

Numéro/type/nom du dossier	Info Médicament : perspectives en pédiatrie
Laboratoire(s)	N/A
Direction médicale concernée	DSI/DEI
Expert(s)	N/A

Présentation du dossier

Objectifs d'Info Médicament

- Réduire le mésusage des médicaments en favorisant un réflexe de vérification des informations disponibles.
- Améliorer l'accès à une information fiable, claire et adaptée aux besoins des patients.
- Renforcer l'accompagnement des patients par les professionnels de santé en facilitant l'accès à une information pertinente et rapidement identifiable.

Dans cette perspective, il est proposé de mettre en évidence, par un surlignage, les passages de la notice et/ou du résumé des caractéristiques du produit (RCP) contenant des informations spécifiques à la population pédiatrique. Ce repérage visuel permet de faciliter l'identification des données essentielles relatives à l'utilisation du médicament chez l'enfant en fonction du libellé spécifique à chaque médicament, tant pour les patients et leurs aidants que pour les professionnels de santé. Il contribue ainsi à améliorer l'accessibilité de l'information, à sécuriser l'usage des médicaments et à encourager la vérification des recommandations spécifiques à la pédiatrie, en cohérence avec les objectifs poursuivis par Info Médicament.

Les professionnels de santé et les patients sont invités à tester le site : <https://infomedicament.beta.gouv.fr/>

Conclusions du CSP

Les membres soulignent l'intérêt de ce projet visant à renforcer la sécurité d'utilisation des médicaments et la qualité de l'information délivrée et recommandent :

- **La mise en place d'un tag « Contre-indication pédiatrique »**, afin d'attirer immédiatement l'attention sur les situations où un médicament ne doit pas être utilisé chez l'enfant. Pour éviter toute simplification excessive, ce tag devrait être systématiquement accompagné de l'extrait pertinent de la notice et/ou du résumé des caractéristiques du produit (RCP), permettant d'apporter les nuances scientifiques nécessaires, notamment lorsque la contre-indication ne concerne qu'un sous-groupe d'âge ou une situation clinique particulière.
- Une vigilance particulière concernant les médicaments disponibles sans ordonnance, en raison du risque d'automédication. Les membres proposent l'affichage systématique d'un **encart de sensibilisation** rappelant qu'Info Médicament est un site d'information sur les médicaments et que toute utilisation médicamenteuse comporte des bénéfices mais également des risques potentiels. Cet encart pourrait inviter les utilisateurs à solliciter l'avis d'un professionnel de santé avant d'initier un traitement, en particulier chez les populations les plus vulnérables, telles que les enfants.

Nom du dossier

Numéro/type/nom du dossier	Retour Enpr-EMA
Laboratoire(s)	N/A
Direction médicale concernée	DEI
Expert(s)	

Présentation du dossier

Retour sur l'atelier du 12 mai consacré aux essais cliniques pédiatriques et organisé par le Réseau européen multipartite dédié à la recherche pédiatrique auprès de l'Agence européenne des médicaments (**European Network of Paediatric Research, Enpr-EMA**) et l'initiative Accélérer les essais cliniques dans l'Union européenne (**ACT EU**).

L'objectif est de favoriser le dialogue entre les autorités réglementaires, les promoteurs commerciaux et non commerciaux, y compris les établissements universitaires, les réseaux de recherche et les représentants des patients.

Des difficultés propres au développement des médicaments pédiatriques ont été identifiées : hétérogénéité de l'interprétation de la définition du bénéfice direct pour un patient versus bénéfice pour le groupe (Art. 32 du CTR) entre les parties prenantes,

hétérogénéité des décisions réglementaires concernant l'inclusion des adolescents dans les essais cliniques menés chez l'adulte, choix du groupe contrôle dans les essais cliniques impliquant des méthodes d'administration ou de prélèvement invasives.

Il a été souligné que les retards ou refus liés aux autorisations d'essais cliniques posent des problèmes de faisabilité susceptibles de compromettre l'inclusion des enfants dans les essais cliniques et, à terme, l'accès en temps opportun à des médicaments innovants. Ainsi, des initiatives multipartites et une harmonisation au niveau national pourraient renforcer la compétitivité de l'UE dans le domaine des essais cliniques et faciliter le développement précoce de traitements pédiatriques. Un dialogue prospectif entre les autorités réglementaires internationales (EMA-FDA) est important pour favoriser une évolution harmonisée à l'échelle mondiale (dans le contexte des maladies rares). Cela vaut également pour les parties prenantes européennes impliquées dans l'application de l'article 32 du CTR. Un dialogue précoce et coordonné avec les organismes d'évaluation des technologies de santé (HTA) serait bénéfique.

Le contexte de la maladie a également son importance. Le niveau de formation des représentants des patients et leur connaissance de la réglementation est crucial, il est nécessaire de former les patients et les aidants.

D'autres recommandations sont proposées, telles que la mise en œuvre efficace d'essais cliniques menés dans le cadre de plateformes de collaboration entre le monde universitaire et l'industrie pour les maladies rares, pédiatriques, l'identification de moyens permettant d'améliorer le recrutement des enfants, la mise en œuvre d'approches méthodologiques adaptées au développement de médicaments pédiatriques (e.g. extrapolation à partir de données chez l'adulte, en s'appuyant sur des méthodes bayésiennes et quantitatives).

Ordre du jour et Présentations: <https://www.ema.europa.eu/en/events/enprema-act-eu-workshop-paiatric-clinical-trials>

Conclusions du CSP

Les membres du CSP soulignent :

- L'importance de l'accès aux médicaments innovants et plus spécifiquement pour les enfants atteints de maladies rares et en impasse thérapeutique.
- La balance éthique, dans le cadre des essais cliniques, consiste à trouver un équilibre entre deux exigences fondamentales : ne pas exclure les populations vulnérables (déclaration d'Helsinki 2024), afin qu'elles puissent bénéficier des

avancées de la recherche et que les résultats leur soient applicables, tout en veillant à limiter la charge que représente leur participation, notamment lorsque les prélèvements et les procédures sont contraignants ou invasifs.

- La balance bénéfice-risque des bras contrôles pour les enfants doit être examinée avec rigueur, notamment lorsque l'intervention est invasive ou que la maladie est sévère et évolutive. Comme déjà évoqué pour le développement de traitements innovants dans le contexte de pathologies neurodéveloppementales, le choix des bras contrôles doit être soigneusement évalué :

<https://ansm.sante.fr/uploads/2026/01/07/20251009-cr-csp-pediatrie.pdf>

- Les données de vie réelle seraient utiles, au moins, pour la mise en contexte.

- Les critères d'inclusion/exclusion, les critères de jugement adaptés et la durée de suivi sont à bien définir.

Par ailleurs, il convient de noter qu'en cas d'extrapolation proposée, son acceptation et ses modalités dépendront du produit et de l'indication, avec des incertitudes essentielles à prédéfinir.

Une recommandation pour harmoniser les plans de développement serait le bienvenu pour les thérapies innovantes. L'objectif étant également d'harmoniser les développements transatlantiques (important pour les maladies rares), et, d'augmenter la compétitivité européenne.

- L'importance de l'implication des associations patients dans la conception des protocoles tout en garantissant l'indépendance des décisions.

- L'intérêt des moyens identifiés pour mettre en œuvre efficacement la mise en place des essais cliniques en Europe et en France.

Nom du dossier

Numéro/type/nom du dossier	Evaluations de plans d'investigation pédiatrique (PIPs) : - PIPs dans le traitement de la maladie de Duchenne - PIP dans le traitement de l'encéphalopathie développementale et épileptique causée par des variants à gain de fonction du gène SCN2A
Laboratoire(s)	Genethon, Secretome Therapeutics Inc, Transcrip Ireland Limited
Direction médicale concernée	DEI
Expert(s)	N/A

Présentation du dossier

Des dossiers PIPs (questions cliniques) ont été discutés brièvement concernant des développements de médicaments dans la maladie de Duchenne et dans le traitement

de l'encéphalopathie développementale et épileptique causée par des variants à gain de fonction du gène SCN2A.

Conclusions du CSP

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