

Numéro unique de document : GT92019021
Date document : 10/06/2019
Direction : des Politiques d'Autorisation et d'Innovation
Pôle : Politiques publiques et Process Innovation
Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT 9 Pédiatrie – 2019-02

Séance du 17 juin 2019 de 14h à 18h en salle A014

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 Pédiatrie – N° 2019-01	Pour adoption
2.	Dossiers thématiques (Europe)	
2.1	Projet de communication sur l'utilisation du violet de gentiane dans le cadre de l'allaitement maternel	Pour information
2.2	EMA Amsterdam	Pour information
2.3	"Conference on the evaluation of orphan & paediatrics legislations", 17/05/2019	Pour information
2.4	Point développements patients non traités (« Previous Untreated Patients ») et modification PIP 1215 M7 lonococog alfa (hémophilie A)_CSL Behring-D30	Pour information
2.5	Développements pédiatriques dans le Duchenne : contraintes actuelles et optimisations possibles/en cours	Pour discussion
3	Dossiers thématiques (National)	
3.1	Projet de référencement des spécialités autorisées en pédiatrie	Pour discussion
4	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
4.1	PIP 2596 rivipansel (sickle cell disease) _ Pfizer-D30	Pour discussion
4.2	PIP 2036 RE-024 (pantothenate kinase-associated neurodegeneration (PKAN))_ Retrophin-D90	Pour discussion
4.3	PIP 332 Modification 9 brivaracetam (neonates seizures)_ UCB-D30	Pour discussion
5	Tour de table	

PIP* : Plan d'Investigation Pédiatrique

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

Dossiers thématiques (National)

3.1 Projet de référencement des spécialités autorisées en pédiatrie

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

Références documentaires

Liste des médicaments indispensables / essentiels en cas de pandémie grippale (version de janvier 2008, actualisée en septembre 2013)

Présentation de la problématique

Dans le cadre de l'axe 1 du programme de travail 2018-2021 : « Transparence et suivi des spécialités pouvant être administrées aux enfants », la DPAI travaille sur des modalités de mise à disposition d'une liste des spécialités autorisée en pédiatrie. Pour ce faire, ces spécialités autorisées en pédiatrie doivent être référencées dans nos bases de données.

La DPAI souhaite présenter la méthodologie de travail, notamment en ce qui concerne la reprise de l'existant, aux Membres du GT pédiatrie et recueillir leur avis.

Questions posées NA

Avis relatif à la question posée

Dossiers produits (Européen)

4.1	PIP 2596 rivipansel (sickle cell disease) _ Pfizer	PDCO discussion J30
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Références documentaires

- Summary report PIP 2596

Présentation de la problématique

Première discussion sur un développement principalement pédiatrique

Questions posées

Le plan de développement proposé en pédiatrie par la firme est-il acceptable, en particulier :

- la dérogation est-elle acceptable ?
- la formulation, les essais cliniques pédiatriques de PK/PD, d'efficacité / sécurité, sont-ils adéquats dans toutes les classes d'âge ?

Quels commentaires, points d'améliorations seraient à discuter ?

Avis relatif à la question posée

Dossiers thématiques (Européen)

2.5	Développements pédiatriques dans le Duchenne : contraintes actuelles et optimisations possibles/en cours	
	Dossier thématique	<input checked="" type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>

Références documentaires

-

Présentation de la problématique

- Présentation synthèse de l'état des lieux des développements pédiatriques soumis aux réglementaires et problématiques posées

Questions posées	Au vu des problématiques rencontrées, quels sont les enjeux-questions principales ? Solutions possibles et/ou en cours ?
Avis relatif à la question posée	

Dossiers thématiques (National) Dossier Produits – Substance (Europe)

4.2	Nom du dossier	PIP 2036 RE-024 (pantothenate kinase-associated neurodegeneration (PKAN))_ Retrophin- PDCO discussion 2e tour D90
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Références documentaires

- Summary report PIP 2036 D90

Présentation de la problématique

Réponses aux différentes questions posées par le PDCO sur l'ensemble du développement proposé.

Questions posées	Les réponses sont-elles acceptables ?
Avis relatif à la question posée	

Dossier Produits – Substances (Europe)

4.3	Nom du dossier	PIP 332 Modification 9 brivaracetam (neonates seizures)_UCB-D30
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Références documentaires

- Summary report & opinion PIP 332 M9 D30

Présentation de la problématique

Plan de développement pédiatrique modifié pour cette étude sur les nouveau-nés dans l'épilepsie

Questions posées	Le plan de développement proposé en pédiatrie par la firme est-il acceptable, vu les modifications apportées ? Quels commentaires, points d'améliorations seraient à discuter ?
-------------------------	--