

Numéro unique de document : GT162016011
Date document : 16/03/2016
Direction : Evaluation
Pôle : Accès Innovation et Développement
Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT Pédiatrie – N° 162016-01

Séance du 13 avril 2016 de 14h à 18h en salle A15

Programme de séance		
	Sujets abordés	Action (pour audition, information, adoption ou discussion)
1.	Introduction	
1.1	Ordre du jour	Pour adoption
1.2	CR de de GT 24 Pédiatrie – N° 2015-03	Pour adoption
2.	Dossiers thématiques	
2.1	- Présentation des membres et du Groupe de travail pédiatrie (missions, structure, fonctionnement)	Pour information
2.2	- Présentation et validation du Règlement Intérieur	Pour adoption
2.3	- Règles de déontologie, DPI	Pour information
2.4	- Retour sous-groupe ANSM associations patients : règlement préparations	Pour information
2.5	- Règlement pédiatrique Européen et rapport à 10 ans	Pour information
2.6	- Retour workshop FDA INC neonates 7-9 mars 2016	Pour information / discussion
3	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
3.1	PIP 332 M10 brivarecetam (neonatal seizures) – UCB	Pour discussion
3.2	PIP 334 M4 Methoxyflurane (Penthrox – PUMA; Acute pain) - Medical Developments UK Limited (MDI)	Pour discussion
3.3	PIP 1943 Fc & CDR-modified h m ab against C5 (atypical Haemolytic Uremic Syndrome) – Alexion Europe SAS	Pour discussion
3.4	PIP 753-2 susoctocog alfa (Hereditary FVIII deficiency) – Baxalta	Pour discussion
4	Tour de Table	

PIP* : Plan d'Investigation Pédiatrique

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

SAWP*** : Scientific Advice Committee, EMA

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 332-M10 brivarecetam (neonatal seizures) – UCB
-----	-----------------------	--

	Dossier thématique	☐
	Dossiers Produits – Substances (National)	☐
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	☒

Présentation de la problématique

Développement clinique dans l'épilepsie du nouveau-né, en seconde ligne, dont les critères d'inclusion, les critères de jugement sont encore en discussion dans la communauté scientifique, même si des avancées sont à noter (workshop FDA – INC Mars 2016). La dose est à justifier pour ces enfants particulièrement fragiles.

Question posée	Le critère d'inclusion est-il acceptable et suffisant ? D'autres items seraient à préciser ?
Question posée	Les critères de jugement primaire et secondaire sont acceptables ? Des critères manquants sont à ajouter ? La définition du non-répondeur est-elle suffisante ?
Question posée	L'étude PK-PD cohortes exploratoire et confirmatoire, avec les doses initiale et suivantes administrées pour les nouveau-nés est-elle acceptable, au vu de l'ensemble des données, dont la modélisation, fournies ?
Question posée	Le design en ouvert est-il acceptable ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 334 M4 Methoxyflurane (Penthrox® – PUMA; Acute pain) - Medical development international
	Dossier thématique	☐
	Dossiers Produits – Substances (National)	☐
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	☒

Présentation de la problématique

Etude clinique d'efficacité et de sécurité en vue d'une extension d'AMM en pédiatrie, à partir de 6 ans, pour cet anesthésique qui est à inhaler. Une modification est soumise sur ce design, basé sur l'étude réalisée pour l'AMM. Deux avis scientifiques de l'ANSM et du MHRA (UK) ont été réalisés.

Question posée	La caractérisation de la douleur est-elle suffisante (population incluse âgée de 6 à <18 ans) ?
Question posée	Le design vs placebo est-il acceptable, avec le schéma d'administration du produit (même la « rescue administration » suffisamment définis ?
Question posée	Le schéma d'administration du produit (même dose / âge ; temps d'attente non défini) est-il acceptable ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 1943 Fc & CDR-modified h m ab against C5 (forme prolongée de Soliris® atypical Haemolytic Uremic Syndrome) – Alexion Europe SAS
	Dossier thématique	☐
	Dossiers Produits – Substances (National)	☐
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	☒

Présentation de la problématique	
Développement d'une formulation avec une demi-vie prolongée pour réduire le nombre d'administration d'éculizimab (Soliris®). Une étude en ouvert est proposée PK/PD et de sécurité principalement.	
Question posée	La formulation proposée est-elle adaptée ?
Question posée	Le développement PK-PD est-il adapté ? En particulier la modélisation est-elle acceptable (pop PK-PD) ?
Question posée	Le développement clinique est-il proposé est-il pertinent (critères de jugement primaire et secondaires, durée, design)? Quelles seraient les points d'amélioration à proposer sur ce développement ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 753-2 susoctocog alfa (Obizur®, Hereditary FVIII deficiency) – Baxalta
	Dossier thématique	☐
	Dossiers Produits – Substances (National)	☐
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	☒

Présentation de la problématique	
Produit recombinant porcin autorisé en Novembre 2015 en Union Européenne pour le traitement dans l'hémophilie A acquise, causée par les Ac au FVIII (waiver PIP due à la rareté de la maladie en pédiatrie). La firme souhaite étendre son AMM dans l'hémophilie A congénitale avec inhibiteurs (peri-operative management, on-demand treatment and control of bleeding episodes).	
Question posée	Les études cliniques proposées, avec tout d'abord l'étude en chirurgie, à évaluer, pour ensuite prévoir l'indication « on demand » en pédiatrie est-elle acceptable ?
Question posée	Les critères d'inclusion des enfants dans l'étude chirurgie sont-elles acceptable ? Le report « deferral » proposé en pédiatrie est-il acceptable (cf. guidelines EMA FVIII)