

Numero unique de document : GT242013031

Date document : 18/11/2013

Direction : Evaluation

Pôle : Clinique

Personne en charge : Sylvie Benchetrit

## GT 24 Pédiatrie – N° 2013-03

Séance du 19 Novembre 2013 de 14h à 18h en salle A015

### Programme de séance

|           | Sujets abordés                                 | Action (pour audition, information, adoption ou discussion) |
|-----------|------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------|
| <b>1.</b> | <b>Introduction</b>                            |                                                             |
| 1.1       | Ordre du jour                                  | Pour adoption                                               |
| 1.2       | CR de de GT 24 Pédiatrie – N° 2013-02          | Pour adoption                                               |
| 1.3       | Calendrier GT Pédiatrie 2014                   | Pour information / discussion                               |
| <b>2.</b> | <b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b> |                                                             |
| 2.1       | PIP 1544 Captopril                             | Pour discussion                                             |
| 2.2       | PIP 1241 Enalapril                             | Pour discussion                                             |
| 2.3       | PIP 332 Ustekinumab                            | Pour discussion                                             |
| 2.4       | PIP 637-M03 Lanthanum                          | Pour discussion                                             |
| <b>3.</b> | <b>Tour de Table</b>                           |                                                             |

### Dossier Produits – Substances (Europe)

|  |                                           |                                      |
|--|-------------------------------------------|--------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | PIP 1544 Captopril (Proveca Limited) |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>             |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>             |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/>  |

### Présentation de la problématique

Développement d'une nouvelle formulation pédiatrie liquide destinée à l'ensemble de la population pédiatrique, à discuter. Ce PIP, en début de procédure, fait suite à un avis scientifique soumis par la firme à l'EMA, également en lien avec le PIP enalapril soumis par cette firme. C'est un PUMA. Le captopril est dans la liste des besoins pédiatriques européens. Différents aspects de la stratégie et du développement qualité et clinique seront discutés.

|                       |                                                                                                                                                                                                                                                                     |
|-----------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Question posée</b> | La stratégie de développement en particulier sur les nouveau-nés et nourrissons, sans aucune étude clinique proposée < 1 an, pour une autorisation plus rapide de cette solution dans l'indication insuffisance cardiaque entre 1 à < 18 ans, est-elle acceptable ? |
|-----------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

|                       |                                                                                                                                |
|-----------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Question posée</b> | Le développement qualité proposé est-il acceptable ? Quelles précisions seraient à demander ?                                  |
| <b>Question posée</b> | Le développement PK-PD proposé est-il acceptable ? Quels seraient les compléments nécessaires à demander ?                     |
| <b>Question posée</b> | Le développement efficacité clinique et sécurité proposé est-il acceptable ? Quel est le développement nécessaire à demander ? |

### Dossier Produits – Substances (Europe)

|  |                                           |                                      |
|--|-------------------------------------------|--------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | PIP 1241 Enalapril (Proveca Limited) |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>             |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>             |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/>  |

#### Présentation de la problématique

Développement d'une nouvelle formulation pédiatrie liquide destinée à la population pédiatrique excepté les nouveau-nés, à discuter suite au retour du PDCO, au 2<sup>e</sup> tour. Ce PIP fait suite à un avis scientifique soumis par la firme à l'EMA, également en lien avec le PIP captopril soumis par cette firme. C'est un PUMA. L'enalapril est dans la liste des besoins pédiatriques européens. Différents aspects de la stratégie et du développement qualité et clinique seront discutés.

|                       |                                                                                                                                                                                                 |
|-----------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Question posée</b> | La stratégie de développement en particulier la dérogation des nouveau-nés, au vu des risques de sécurité, de prescription hors-AMM et en cohérence avec le PIP captopril est-elle acceptable ? |
| <b>Question posée</b> | Le développement qualité proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ?                                                                                                                     |
| <b>Question posée</b> | Le développement PK-PD proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ?                                                                                                                       |
| <b>Question posée</b> | Le développement efficacité clinique et sécurité proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ?                                                                                             |

### Dossier Produits – Substances (Europe)

|  |                                           |                                        |
|--|-------------------------------------------|----------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | PIP311 Stelara (ustekinumab) (Janssen) |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>               |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>               |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/>    |

#### Présentation de la problématique

Réponse de la firme sur ce biosimilaire dans une maladie sévère, suite aux commentaires faites au premier tour par le PDCO, et après discussion par le GT Pédiatrie.

|                       |                                                                                                     |
|-----------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Question posée</b> | Le développement qualité proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ?                         |
| <b>Question posée</b> | Le développement PK-PD proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ?                           |
| <b>Question posée</b> | Le développement efficacité clinique et sécurité proposé au 2 <sup>e</sup> tour est-il acceptable ? |

## Dossier Produits – Substances (Europe)

|  |                                           |                                           |
|--|-------------------------------------------|-------------------------------------------|
|  | <b>Nom du dossier</b>                     | PIP637-2 lanthanum (Shire Pharmaceutical) |
|  | Dossier thématique                        | <input type="checkbox"/>                  |
|  | Dossiers Produits – Substances (National) | <input type="checkbox"/>                  |
|  | Dossiers Produits – Substances (Europe)   | <input checked="" type="checkbox"/>       |

### Présentation de la problématique

Modification importante sur le plan d'investigation pédiatrique déjà avalisé par le PDCO concernant la dérogation de développement de 0 à moins de 12 ans, pour des raisons de faisabilité et d'alternatives thérapeutiques existantes, où ce médicament ne représente pas de bénéfice thérapeutique significatif. De plus le développement PK, efficacité et sécurité est modifié pour les 12-<18 ans (en cours).

|                       |                                                                                                            |
|-----------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Question posée</b> | La dérogation de développement de 0 à < 12 ans est-elle acceptable ?                                       |
| <b>Question posée</b> | Le développement PK, efficacité et sécurité est modifié pour les 12-<18 ans (en cours) est-il acceptable ? |