

Numero unique de document : GT242015031

Date document : 05/11/2015

Direction : Evaluation

Pôle : Accès Innovation et Développement

Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT 24 Pédiatrie – N° 2015-03

Séance du 24 novembre 2015 de 14h à 18h en salle 3

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° 2015-02	Pour adoption
2.	Dossiers thématiques	
2.1	<ul style="list-style-type: none"> - Information sur le renouvellement du GT pédiatrie, dépôt des candidatures jusqu'au 2 décembre. - Information de la création du « sous-groupe de travail sur les médicaments utilisés en pédiatrie » avec les associations de patients. - Information des journées de travail à l'EMA thématiques, organisées par le PDCO** en 2015, sur les registres hémophilie, l'extrapolation (FDA), les associations fixes en HIV, et à venir sur la mucoviscidose. - Calendrier GT pédiatrie 2016. 	Pour information / discussion
2	Dossiers Produits – Substances (National)	
	Dexrazoxane (Cardioxane®), utilisation en pédiatrie dans le cadre de la réévaluation de son rapport bénéfice/risque chez les enfants et adolescents traités par anthracyclines – Clinigen.	Pour discussion
3	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
3.1	PIP* 1855 Levamisole (Elmisol®) – ACE Pharmaceuticals BV	Pour discussion
3.2	PIP 1886-01/02 recombinant fusion proteine linking coagulation FVIIa with albumin – CSL Behring GmbH	Pour discussion
3.4	PIP 1793 bivalent anti-human myostatin adnectin r h IgG1-Fc fusion PT – BMS	Pour discussion
4	Tour de Table	

PIP* : Plan d'Investigation Pédiatrique

PDCO** : Peadiatric Committee, EMA: European Medecines Agency

Dossier Produits – Substances (National)

3.1	Nom du dossier	Dexrazoxane (Cardioxane®)
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Suite à la publication récente de données actualisées sur l'utilisation du Dexrazoxane (DRZ) en pédiatrie, le laboratoire Clinigen souhaite une réévaluation de son rapport bénéfice/risque chez les enfants et adolescents traités par anthracyclines.

Cette demande d'extension de l'indication pour DRZ repose essentiellement sur 3 études de phase 3, randomisées conduites entre 1996 et 2001 dans une population pédiatrique atteinte de LAL, LNH et LH aux USA.

Question posée	Compte tenu des éléments présentés, le groupe est-il favorable la levée de la contre-indication du DRZ en pédiatrie ?
Question posée	Dans quelles situations en particulier l'utilisation du DRZ pourrait-elle être envisagée ?
Question posée	Quelles données en particulier seraient attendues ?
Question posée	Quels critères de surveillance pourraient être suggérés pour le suivi de l'insuffisance cardiaque en pédiatrie ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.2	Nom du dossier	PIP 1855 Levamisole (Elmisol®) – ACE Pharmaceuticals BV
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Nouveau développement pédiatrique soumis au PDCO dans le traitement des syndromes néphrotiques cortico-dépendants (« treatment of steroid sensitive nephrotic syndrome » (SSNS)), chez les enfants à partir de 2 ans. Cependant, l'ensemble des études ont déjà été réalisées sur la base des avis scientifiques européens préalablement reçus, réalisés avant la mise-en-œuvre du règlement pédiatrique européen.

Question posée	La dérogation < 2 ans est-acceptable face aux besoins thérapeutiques ?
Question posée	Le développement pédiatrique proposé est-il acceptable ? Quelles seraient les données manquantes à compléter (formulation, PK, PD, efficacité et sécurité).

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 1886-01/02 recombinant fusion proteine linking coagulation FVIIa with albumin – CSL Behring GmbH
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Nouveau développement pédiatrique soumis au PDCO dans le traitement de la déficience congénitale du Facteur VII, avec une demi-vie prolongée. A noter que les guidelines thérapeutiques EMA concernent les déficiences du FVIII et IX.

Question posée	Le développement pédiatrique proposé est-il acceptable, dans les domaines de la formulation, la pharmacologie PK, PD, les données d'efficacité et de sécurité ? Quels compléments sont à demander ?
-----------------------	---

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier	PIP 1793 bivalent anti-human myostatin adnectin r h IgG1-Fc fusion PT – BMS
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Nouveau développement pédiatrique soumis au PDCO, dans l'indication «treatment of Duchenne Muscular Dystrophy ». Ce développement a déjà été discuté auprès du comité des avis scientifiques à l'EMA et auprès de la FDA. Un premier avis a récemment été discuté en amont, par téléconférence, avec l'équipe d'évaluation EMA-PDCO.

Question posée	Le développement pédiatrique proposé est-il acceptable, dans les domaines de la formulation, la pharmacologie, les données d'efficacité et de sécurité ? Quels compléments faudrait-il demander ?
-----------------------	---

Question posée	Le développement PK/PD proposé, basé sur des données animales et premières données humaines, en vue d'établir la bonne dose, est-il adéquat ? Quels compléments faudrait-il demander ?
-----------------------	--