

Numero unique de document :GT242013021

Date document 17/09/2013

Direction : Evaluation

Pôle : Clinique

Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT 24 Pédiatrie – N° 2013-02

Séance du 24 Septembre 2013 de 14h à 18h en salle A015

Programme de séance

	Sujets abordés	Action (pour audition, information, adoption ou discussion)
1.	Introduction	
1.1	Adoption de l'ordre du jour	
1.2	Adoption du CR de GT 24 Pédiatrie – N° 2013-01	
2.	Dossiers thématiques	
2.1	Rappels missions du GT Pédiatrie et du Règlement intérieur, périodicité	Pour information
2.2	Appel à candidature membre expert France « Alternate » au PDCO	Pour information/discussion
3.	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
3.1	Avis scientifique européen suite au PIP 987 : asfotase alfa	Pour discussion
3.2	Pediatric inventory neurology	Pour discussion/adoption
3.3	PIP 332 Brivaracetam	Pour discussion
3.4	PIP 1525 Alpha-1 antitrypsin	Pour discussion
4.	Tour de Table	

Dossier 3.1

Nom du dossier	Avis scientifique européen (SAWP) suite au PIP : asfotase alfa (Actelion)
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 en cours suite au PIP 987 (FR rapporteur), conformément aux points restant en suspens. Cet avis scientifique concerne des questions PK et PD, ainsi que la stratégie sur l'immunogénicité.

Question posée	La Modélisation PK-PD-efficacité planifiée pour évaluer la dose est-elle acceptable ?
Question posée	Validation rétrospective des données proposées à utiliser en PK acceptable ?
Question posée	Stratégie immunogénicité acceptable ?

Dossier 3.2

Nom du dossier	Pediatic inventory neurology
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

« Padiatric inventory neurology » :

- Liste inventaire des besoins thérapeutiques dans le traitement de l'épilepsie de la migraine et de la sclérose en plaque chez l'enfant, établi sur la base de la liste des besoins thérapeutiques du PEG (médicaments autorisés et utilisés off-label), suite aux retours des différents pays (dont la France).

- Liste finale, à valider pour le prochain PDCO, avant la consultation publique (EMA).

Question posée	Les besoins sont-ils couverts dans l'épilepsie ?
Question posée	Les besoins sont-ils couverts dans la migraine ?
Question posée	Les besoins sont-ils couverts dans la sclérose en plaques ?

Dossier 3.3

Nom du dossier	PIP Brivaracetam 332 M07 (UCB)
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 de mesures de développement définies dans la dernière opinion du PIP Brivaracetam validé par le PDCO. Discussion des changements demandés pour l'étude 9 du PIP chez les nouveau-nés.

Question posée	Durée suffisante pour évaluer l'efficacité et les paramètres PK ?
Question posée	Changement du control actif midazolam vs phénytoïne acceptable ? Quelles données complémentaires seraient nécessaires, sachant que midazolam n'est pas autorisé dans cette indication ?
Question posée	Durée modifiée du nouveau critère de jugement secondaire proposé (à la place des paramètres PK) : acceptable ?
Question posée	Sécurité : critères d'évaluation neurologique / tranches d'âge à préciser, visite après un an nécessaire ?
Question posée	Report et délais de développement acceptables ?

Dossier 3.4

Nom du dossier	PIP 1525 Alpha-1 antitrypsin (Triskel EU)
Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Dérogation complète de développement demandée par la firme dans l'emphysème secondaire à la déficience congénitale de alpha-1 antitrypsin (AAT), administré en nébuliseur, car la maladie n'existe pas chez l'enfant.

Question posée	Le besoin thérapeutique dans la maladie demandée existe-t'il en pédiatrie?
Question posée	D'accord sur la dérogation complète proposée ainsi que sur la raison ?
Question posée	Le besoin thérapeutique concernant l'AAT dans une autre maladie existe-t'il en pédiatrie (hépatite, mucoviscidose)?