

Numéro unique de document : GT162016021  
Date document : 31/05/2016  
Direction : Evaluation  
Pôle : Accès Innovation et Développement  
Personne en charge : Sylvie Benchetrit

## GT Pédiatrie – N° 162016-02

Séance du 13 juin 2016 de 14h à 18h en salle A13

### 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 du GT 16 Pédiatrie – N° 2016-01	Pour adoption
<b>2.</b>	<b>Dossiers thématiques</b>	
2.1	- GT pédiatrie : points généraux (RI, CI), date prochain GT	Pour information
2.2	- Retours ANSM et PDCO	Pour information
2.3	- Retour workshop EMA FDA Industriels extrapolation et Congrès SFP mai 2016	Pour information / discussion
2.4	- Réflexion sur le règlement pédiatrique et les points d'amélioration	Pour information / discussion
<b>3</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>	
3.1	PIP 1964 Cannabidiol (epilepsy) – GW Research	Pour discussion
3.2	PIP 1941 ezetimibe et rosuvastatine, combinaison à dose fixe, (hypercholesterolaemia) – Adamed sp z o.o.	Pour discussion
3.3	PIP 637 M5 lanthanum (Fosrenol <sup>®</sup> , hyperphosphataemia) – Shire Pharmaceutical Contracts	Pour discussion
<b>4</b>	<b>Tour de Table</b>	

PIP\* : Plan d'Investigation Pédiatrique

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

SAWP\*\*\* : Scientific Advice Committee, EMA

### Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	<b>Nom du dossier</b>	PIP 1964 Cannabidiol (epilepsy) – GW Research
	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 pédiatrique multiple dans l'épilepsie comprenant d'emblée 5 indications différentes demandées «*Treatment of seizures associated with neonatal hypoxic-ischaemic encephalopathy, infantile spasms, Dravet syndrome, Lennox-Gastaut syndrome and tuberous sclerosis complex* » et 8 études proposées, à partir de 2 ans.

<b>Question posée</b>	Toutes les indications dans l'épilepsie sont-elles demandées ?
<b>Question posée</b>	Les âges des dérogations (< 2 ans) demandées correspondent-elles à une absence de besoin thérapeutique dans chacune des différentes indications ?
<b>Question posée</b>	La formulation est-elle adéquate aux différentes classes d'âges ? L'étude PK-PD, avec les doses initiale et suivantes est-elle acceptable (BI) ?
<b>Question posée</b>	Le développement clinique dans les différentes indications est-il acceptable : population étudiée et nombre d'enfants inclus, design, critères de jugements, temps de développement ?

### Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	<b>Nom du dossier</b>	PIP 1941 rosuvastatin – ezetimibe, combinaison à dose fixe (FDC) (hypercholesterolaemia) – Adamed sp z o.o.
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

#### Présentation de la problématique

FDC avec deux molécules approuvées en pédiatrie, rosuvastatine et ezetimibe, à partir de 10 et 6 ans respectivement, et où la question du besoin médical se pose (en cas de substitution), ceci dans un contexte où la rosuvastatine associée à un inhibiteur calcique a été jugé utile par le PDCO, en cours de discussion. Les doses proposées sont Rosuvastatin/Ezetimibe 5/10mg; 10/10mg; 20/10mg.

<b>Question posée</b>	La dérogation demandée par la firme est-elle acceptable, donc l'absence de besoin par rapport aux traitements existants ?
<b>Question posée</b>	Quelles mesures seraient utiles de demander pour une meilleure prise en charge thérapeutique ?

### Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	<b>Nom du dossier</b>	PIP 637 M5 lanthanum (Fosreno <sup>®</sup> , hyperphosphataemia) – Shire Pharmaceutical Contracts
	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 n°5, qui a déjà fait l'objet d'une discussion de pré-soumission, où la firme a discuté des difficultés de recrutement, car la demande préalable d'arrêt de l'étude pivot pédiatrique a été rejetée. A noter que sevelamer, un autre chélateur du phosphate ne contenant pas de calcium, est utilisé hors-AMM.

<b>Question posée</b>	Les changements de design sont-ils acceptable (cf. AMM) concernant les données PK, d'efficacité et de sécurité, compte tenu des changements proposés (1/4 de la population
-----------------------	--

	initiale, sur 8 semaines de traitement sans cross-over avec comparateur + 6 mois de traitement optionnel), suite aux difficultés de recrutement ?
<b>Question posée</b>	Afin de collecter suffisamment de données de sécurité, quel nombre d'enfants serait à recruter compte tenu de la fréquence des effets attendus ?