

Numero unique de document : GT242014011  
Date document : 27/02/2014  
Direction : Evaluation  
Pôle : Accès Innovation et Développement  
Personne en charge : Sylvie Benchetrit

## GT 24 Pédiatrie – N° 2014-01

Séance du 4 mars 2014 de 14h à 18h en salle 2B

### 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° 2013-03	Pour adoption
1.3	Organisation Direction Evaluation ANSM	Pour information
1.4	PIP baclofène (Ethypharm)	Pour information
<b>2.</b>	<b>Dossiers Produits – Substances (Europe)</b>	
2.1	PIP 332 – M08 brivaracetam (UCB)	Pour discussion
2.2	PIP 1296 – M01 pegylated recombinant Factor VIII (Baxter)	Pour discussion
2.3	PIP 298 - M04 pegINF alpha 2 <sup>a</sup> (Roche)	Pour discussion
2.4	PIP 1448 – 396443 Antisense oligonucleotide SMA (Isis)	Pour discussion
2.5	Domperidone (sujet PRAC, FR Rapporteur)	Pour discussion
<b>3.</b>	<b>Tour de Table</b>	

### Dossier Produits – Substances (Europe)

	Nom du dossier	
	PIP 332 – M08 brivaracetam (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 n°8, concernant la suppression d'une maladie/indication "treatment of paediatric epilepsy syndromes » basé sur l'inefficacité des résultats d'études, plus une question PK-dose.

<b>Question posée</b>	La suppression de l'indication "treatment of paediatric epilepsy syndromes » basé sur l'inefficacité des résultats d'études, malgré le besoin médical, est-elle acceptable ? Besoin de données supplémentaires à demander ?
<b>Question posée</b>	Le changement de dose est-il acceptable ?

## Dossier Produits – Substances (Europe)

	<b>Nom du dossier</b>	PIP 1296 – M01 pegylated recombinant Factor VIII (Baxter)
	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°1, concernant principalement l'ajout d'une sous-étude PK-cross-over en amont de l'étude PTP, et d'autres changements études PTP et PUP.

<b>Question posée</b>	La stratégie de développement avec ajout d'une sous-étude PK-cross-over en amont de l'étude PTP est-elle acceptable ?
<b>Question posée</b>	Les autres propositions de modifications études PTP et PUP sont-elles acceptables ?

## Dossier Produits – Substances (Europe)

	<b>Nom du dossier</b>	PIP 298 - M04 pegINF alpha 2 <sup>a</sup> (Roche)
	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°2 avec simplification de l'opinion demandée, suite à la révision du « template PIP opinion ».

Il est rappelé que l'opinion du PIP constitue la synthèse des points demandés, qui seront vérifiés par les autorités réglementaires lors de la soumission de la demande d'AMM.

<b>Question posée</b>	Quels critères « inclusion/exclusion », « stopping rules » et autres critères sont indispensables à inclure dans l'opinion du PIP?
<b>Question posée</b>	Autres points à modifier ?

## Dossier Produits – Substances (Europe)

	<b>Nom du dossier</b>	PIP 1448 – 396443 Antisense oligonucleotide SMA (Isis)
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

### Présentation de la problématique

Demande de ré-examen par la firme suite à l'opinion finale au PDCO en fin d'évaluation (J120).

<b>Question posée</b>	Est-il nécessaire d'initier les études pivots après les résultats des études « doses-range finding » ?
-----------------------	--

## Dossier Produits – Substances (Europe)

	<b>Nom du dossier</b>	Domperidone (sujet PRAC, FR Rapporteur)
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

### Présentation de la problématique

Dossier discuté au PRAC (comité européen de pharmacovigilance) pour l'indication nausées-vomissements. Au vu des données existantes, la France, pays Rapporteur, se pose la question du bénéfice – risque en particulier en pédiatrie, où une contre-indication est discutée, ainsi que les mesures de minimisation de risque si une classe d'âge en pédiatrie n'est pas contre-indiquée. A priori, le PDCO sera sollicité en mars si une évaluation négative du bénéfice – risque est avalisée par le PRAC.

<b>Question posée</b>	Le besoin médical existe-t-il en pédiatrie, à partir de quel âge ? Existe-t-il des alternatives thérapeutiques au domperidone dans l'indication nausées-vomissements en pratique clinique pédiatrique ?
<b>Question posée</b>	Quels sont les retours pharmacovigilance sur dompéridone à votre connaissance (case reports, autre) ?
<b>Question posée</b>	La dose proposée de 0,25 mg/kg 3 fois / j pendant une durée de maximum 7 jours est-elle acceptable au vu des données d'études cliniques disponibles et de l'expérience clinique acquise ? A partir de quel âge ou / et poids ?
<b>Question posée</b>	L'extrapolation des données chez l'adulte pourrait-elle être considérée, dans quelle(s) catégorie(s) d'âge chez l'enfant / adolescent ? De plus, quelles données PK, efficacité, sécurité seraient nécessaires à demander ?