

Réunion du sous-groupe de travail sur les médicaments utilisés en Pédiatrie avec les Associations de Patients et d'Usagers du Système de Santé

Réunion du 14 décembre 2015

Participants :

Représentants de l'ANSM		Présent	Excusé
Dominique MARTIN	Directeur général de l'ANSM	X	
Dany NGUYEN	Chargée d'information au pôle Information des professionnels et du public, Direction de la Communication	x	
Tiphaine CANARELLI	Chef de pôle information des professionnels et du grand public, Direction de la Communication	x	
Cécile DELVAL	Directrice de la direction de l'évaluation	x	
Sylvie BENCHETRIT	Référént pédiatrie, direction de l'évaluation	x	
Valérie SALOMON	Directrice de la Direction des médicaments génériques, homéopathiques, à base de plantes et préparations	x	
Représentants des associations de patients et d'usagers du système de santé			
Hélène POLLARD	Sol En Si/TRT5	x	
Hélène BERRUE-GAILLARD	Association Maladie Foie Enfants (AMFE)	x	
Christophe DUGUET	AFM Téléthon	x	
Jacques BERNARD	Maladies rares info services	x	
Nathalie TELLIER	Union nationale des asscoitons des familles (UNAF)	x	
Nathalie COQUE	Alliance syndrome de Dravet		x
Catherine VERGELY	ISIS	x	

I. Introduction

L'objectif de cette instance sera de travailler sur la dimension européenne, mais également de se concentrer sur les actions pouvant être mises en place au sein de l'Agence sur le sujet complexe des médicaments utilisés en pédiatrie. Ce groupe de travail décline les missions du comité d'interface entre l'ANSM et les associations de patients et d'usagers du système de santé : identifier des sujets prioritaires dans le cadre d'un programme de travail, faciliter les échanges pour intégrer la contribution des différentes parties prenantes et proposer des mesures visant à mieux informer les patients sur la sécurité d'emploi des produits de santé, optimiser la remontée de signaux, favoriser l'accès à l'innovation. Dans un premier temps, il s'agit de s'accorder sur le fonctionnement de ce sous-groupe de travail et d'en définir son programme de travail. Des points d'étape seront ensuite faits de manière régulière, notamment lors des réunions du comité d'interface.

Les membres ANSM du groupe sont :

- Cécile Delval, directrice, présidente du sous-groupe, Direction de l'évaluation (EVAL)
- Sylvie Benchetrit, référente pédiatrie, Direction de l'évaluation (EVAL)
- Dany Nguyen, chargée de mission information, Direction de la communication et de l'information (DIRCOM)
- Philippe Vella, directeur, Direction des médicaments en neurologie, psychiatrie, antalgie, rhumatologie, pneumologie, ORL, ophtalmologie, stupéfiants (NEUROH)
- Caroline Semaille, directrice, Direction des médicaments anti-infectieux, en hépatogastroentérologie, en dermatologie, et des maladies métaboliques rares
- Valérie Salomon, directrice, Direction des médicaments génériques, homéopathiques, à base de plantes et des préparations (GENER)
- Joséphine Géraci, juriste, Direction des affaires juridiques et réglementaires (DAJR)

Les membres représentants d'associations sont :

- Jacques Bernard, Maladies rares info services
- Nathalie Coqué, Alliance syndrome de Dravet
- Christophe Duguet, AFM-Téléthon
- Hélène Bérué-Gaillard, Alliance Maladies rares - Association Maladie Foie enfants
- Hélène Pollard, Sol en SI / TRT-5 (enfants porteurs du VIH)
- Nathalie Tellier, Union nationale des associations des familles (UNAF)
- Catherine Vergely, ISIS - Association des parents et amis des enfants traités à l'Institut Gustave Roussy

Ainsi, la parité entre les représentants de l'Agence, d'une part, et les représentants des associations de patients, d'autre part, est observée. A titre de précision, des représentants d'autres Directions de l'ANSM pourront intervenir de manière ponctuelle, en fonction des ordres du jour.

Concernant le périmètre de travail de ce groupe, il est établi que le champ pédiatrique concerne les enfants de leur naissance à 17 ans révolus.

II. Règlement intérieur

Ce groupe de travail étant un sous-groupe du comité d'interface des associations de patients, les règles de gouvernance de ce comité seront observées. Ainsi, les ordres du jour et les comptes rendus des réunions seront rendus publics. Les débats seront également enregistrés et les comptes rendus approuvés d'une séance sur l'autre.

De plus, le comité d'interface des associations de patients sera régulièrement informé des travaux de ce sous-groupe. Ce dernier rendra également compte de ses travaux au sous-groupe Innovation, découlant du comité d'interface des industriels.

En ce qui concerne les participants aux réunions, il est à noter que les Directions Produits seront représentées autant que de besoin en cette instance.

Les auditions des différentes parties prenantes, d'autres représentants parents d'enfants malades, en fonction des sujets abordés, seront possibles de façon encadrée.

D'une manière générale, le Règlement Intérieur porte sur les points principaux suivants :

- la publication des ordres du jour et des comptes rendus ;
- le nombre de réunions (3 par an) ;
- la parité (sept représentants de l'ANSM et sept représentants des associations de patients).

Au vu du nombre de réunions prévues par le règlement intérieur et de l'agenda des différents participants, il est convenu que l'ANSM propose une méthode de travail aux autres membres du sous-groupe prochainement afin d'optimiser le temps de travail consacré et les résultats.

Par exemple, deux à trois personnes pourront travailler sur un sujet particulier. Les travaux de ces sous-groupes pourront ensuite être restitués à l'instance en plénière.

III. Programme de travail

En séance les thématiques identifiées pour être traitées dans le cadre de ce sous-groupe de travail « Médicaments utilisés en pédiatrie » ont été indentifiées. Lors d'une téléconférence complémentaire à cette discussion, le 7 janvier 2016, la liste ci-dessous a été définie et précisée :

1) Travaux au niveau européen

1.1) Révision du règlement européen relatif aux médicaments en pédiatrie

Proposition de sujets à développer dans ce cadre:

- Prochaines étapes et calendrier prévisionnel (rapport chiffré sur l'impact du règlement 2006 destiné à la Commission européenne et projet « white paper » du PDCO)

- Proposition de sujets à développer dans ce cadre:

- "Fast track" (procédure "early submission", destinée à permettre le traitement dans des délais plus courts)

- Obligation de développement en fonction du mécanisme d'action et non pas de la maladie / l'indication uniquement

1.2) Accompagnement des travaux du PDCO de l'EMA

Indépendamment des travaux menés sur le règlement européen, il s'agit de suivre l'actualité de l'activité du PDCO et de permettre la remontée des problématiques entendues de la part des associations au niveau de cette instance.

2) Essais cliniques en pédiatrie

2.1) Préparation de la mise en œuvre du règlement européen / phase pilote

Le nouveau règlement relatif aux essais cliniques prévoit de désigner un pays rapporteur, à l'instar des AMM. En pratique, le pays rapporteur sera proposé par le promoteur de l'essai clinique en fonction de la qualité scientifique des travaux réalisés par ledit pays en matière d'évaluation et de son expertise.

Le règlement relatif aux essais cliniques sera mis en œuvre à la fin de l'année 2017.

2.2) Participation des associations dans les comités de lecture des protocoles

3) Utilisation hors AMM et hors essais cliniques

3.1) ATU, RTU

3.2) Préparations magistrales, préparations hospitalières

L'Agence collecte des informations sur les préparations hospitalières dans les établissements de santé. Elle suggère également de concentrer l'étude du sujet sur les préparations pédiatriques et les préconisations à adresser aux pharmacies à usage intérieur qui les fabriquent. Des nombreux médicaments sont encore préparés par des infirmières dans les établissements hospitaliers. Cela permet d'encadrer l'utilisation des médicaments en pédiatrie et de limiter les surdosages et le mésusage. En revanche, en ville, les médicaments peuvent être préparés par les parents. Cela peut générer des problèmes de mésusage et impacte les conditions de vie des parents. De ce fait, il semble important d'aborder le sujet des préparations à l'hôpital et en ville, bien que l'amélioration des prescriptions de sortie ne fasse pas partie des prérogatives de l'Agence.

A noter que depuis le décret du 14 novembre 2014, les pharmacies qui effectuent des préparations pouvant présenter un risque pour la santé doivent être agréées par l'ARS.

4) Surveillance des médicaments utilisés en pédiatrie

Il s'agit de parler de la surveillance pendant l'enfance et à l'âge adulte. Des projets de recherche existent dans ce champ, dans le cadre de l'appel à projets associations et de recherche de l'ANSM.

Le fonctionnement de l'instance est acté en début d'année 2016, lors d'une téléconférence. En parallèle des points intermédiaires par email ou téléconférences pourront être organisés autant que de besoin et des séances plénières du comité d'interface seront organisées. La restitution des travaux des sous-groupes de travail sera réalisée lors de ces échanges.

IV. Conclusion

Le principe de la téléconférence qui a eu lieu le 7 janvier 2016 à 10 heures a été convenue en séance.

La prochaine réunion plénière aura lieu le 9 mars 2016 de 9 heures 30 à 12 heures 30.

L'ordre du jour étant épuisé, la séance est levée à 13 heures 10.