

Consultation publique ouverte sur la révision de la réglementation de l'UE relative aux médicaments à usage pédiatrique et aux médicaments pour le traitement des maladies rares

Les champs marqués d'un * sont obligatoires.

Introduction

Les règlements de l'UE relatifs aux médicaments pour le traitement des maladies rares et aux médicaments à usage pédiatrique ont été adoptés respectivement en 2000 et 2006. Cette réglementation a été conçue pour améliorer les possibilités de traitement offertes à 30 millions de patients européens touchés par l'une des plus de 6 000 maladies rares, ainsi qu'à 100 millions d'enfants européens atteints de maladies pédiatriques. À l'époque, il n'existait que peu ou pas de médicaments disponibles pour le traitement de ces deux groupes.

Une évaluation récente de ces règlements a montré qu'ils avaient stimulé la recherche et le développement de médicaments destinés à traiter les maladies rares et d'autres affections touchant les enfants. Toutefois, l'évaluation a également révélé les lacunes que présentait dans le système actuel. La législation n'a pas réussi à stimuler le développement de médicaments dans des domaines où les besoins ne sont pas satisfaits (par exemple, 95 % des maladies rares n'ont toujours pas d'option thérapeutique) et elle n'a pas garanti que les médicaments soient accessibles à tous les patients européens dans l'ensemble des États membres.

La réglementation prévoit des incitations et des récompenses, et la manière dont elle est conçue peut influencer les décisions des entreprises en matière de recherche et de développement pour la mise au point de nouveaux médicaments, ainsi que la question de savoir si ces investissements peuvent se concentrer sur des domaines où les patients en ont le plus besoin. En outre, le système d'incitations peut avoir une incidence sur la concurrence sur le marché et influencer indirectement la disponibilité de ces médicaments et l'accès à ces médicaments pour les patients de l'UE.

Informations vous concernant

* Vous répondez en tant que:

- Établissement universitaire/de recherche
- Organisation sectorielle

- Société/organisation d'entreprises
- Organisation de défense des consommateurs
- Citoyen(ne) de l'UE
- Organisation de protection de l'environnement
- Ressortissant(e) d'un pays tiers
- Organisation non gouvernementale (ONG)
- Autorité publique
- Organisation syndicale
- Autres

* Prénom

Patricia

* Nom

BLANC

* Courriel (ne sera pas publié)

imagineformargo@gmail.com

* Nom de l'organisation

255 caractère(s) maximum

Imagine for Margo - children without cancer

* Taille de l'organisation

- Microentreprise (de 1 à 9 salariés)
- Petite entreprise (de 10 à 49 salariés)
- Moyenne entreprise (de 50 à 249 salariés)
- Grande entreprise (250 salariés ou plus)

Numéro d'inscription au registre de transparence

255 caractère(s) maximum

Veillez vérifier si votre organisation est inscrite au [registre de transparence](#). Il s'agit d'une base de données dans laquelle s'inscrivent de leur plein gré les organisations cherchant à influencer sur le processus décisionnel de l'UE.

085369837464-34

*

Pays d'origine

Veillez indiquer votre pays d'origine ou celui de votre organisation.

- Afghanistan
- Afrique du Sud
- Albanie
- Algérie
- Allemagne
- Andorre
- Angola
- Anguilla
- Antarctique
- Antigua-et-Barbuda
- Arabie saoudite
- Argentine
- Arménie
- Aruba
- Australie
- Autriche
- Azerbaïdjan
- Bahamas
- Bahreïn
- Bangladesh
- Estonie
- Eswatini
- État de la Cité du Vatican
- États-Unis
- Éthiopie
- Fidji
- Finlande
- France
- Gabon
- Gambie
- Géorgie
- Ghana
- Gibraltar
- Grèce
- Grenade
- Groenland
- Guadeloupe
- Guam
- Guatemala
- Guernesey
- Kirghizstan
- Kiribati
- Kosovo
- Koweït
- Laos
- La Réunion
- Lesotho
- Lettonie
- Liban
- Liberia
- Libye
- Liechtenstein
- Lituanie
- Luxembourg
- Macao
- Macédoine du Nord
- Madagascar
- Malaisie
- Malawi
- Maldives
- République démocratique du Congo
- République dominicaine
- Roumanie
- Royaume-Uni
- Russie
- Rwanda
- Sahara occidental
- Saint-Barthélemy
- Saint-Christophe-et-Niévès
- Sainte-Hélène, Ascension et Tristan da Cunha
- Sainte-Lucie
- Saint-Marin
- Saint-Martin
- Saint-Pierre-et-Miquelon
- Saint-Vincent-et-les-Grenadines
- Samoa
- Samoa américaines
- Sao Tomé-et-Principe
- Sénégal
- Serbie

- Barbade
- Belgique
- Belize
- Bénin
- Bermudes
- Bhoutan
- Biélorussie
- Bolivie
- Bonaire, Saint-Eustache et Saba
- Bosnie-Herzégovine
- Botswana
- Brésil
- Brunei
- Bulgarie
- Burkina
- Burundi
- Cambodge
- Cameroun
- Canada
- Cap-Vert
- Chili
- Chine
- Chypre
- Guinée
- Guinée-Bissau
- Guinée équatoriale
- Guyana
- Guyane
- Haïti
- Honduras
- Hong Kong
- Hongrie
- Île Bouvet
- Île Christmas
- Île de Man
- Île Norfolk
- Îles Åland
- Îles Caïmans
- Îles Cocos
- Îles Cook
- Îles Falkland
- Îles Féroé
- Îles Géorgie du Sud et Sandwich du Sud
- Îles Heard et McDonald
- Îles Mariannes du Nord
- Îles Marshall
- Mali
- Malte
- Maroc
- Martinique
- Maurice
- Mauritanie
- Mayotte
- Mexique
- Micronésie
- Moldavie
- Monaco
- Mongolie
- Monténégro
- Montserrat
- Mozambique
- Myanmar /Birmanie
- Namibie
- Nauru
- Népal
- Nicaragua
- Niger
- Nigeria
- Niue
- Seychelles
- Sierra Leone
- Singapour
- Sint-Maarten
- Slovaquie
- Slovénie
- Somalie
- Soudan
- Soudan du Sud
- Sri Lanka
- Suède
- Suisse
- Suriname
- Svalbard et Jan Mayen
- Syrie
- Tadjikistan
- Taïwan
- Tanzanie
- Tchad
- Tchéquie
- Terres australes et antarctiques françaises
- Territoire britannique de l'océan Indien
- Territoires palestiniens

- Clipperton
- Colombie
- Comores
- Congo
- Corée du Nord
- Corée du Sud
- Costa Rica
- Côte-d'Ivoire
- Croatie
- Cuba
- Curaçao
- Danemark
- Djibouti
- Dominique
- Égypte
- El Salvador
- Émirats arabes unis
- Équateur
- Érythrée
- Espagne
- Îles mineures éloignées des États-Unis
- Îles Pitcairn
- Îles Salomon
- Îles Turks-et-Caïcos
- Îles Vierges américaines
- Îles Vierges britanniques
- Inde
- Indonésie
- Iran
- Iraq
- Irlande
- Islande
- Israël
- Italie
- Jamaïque
- Japon
- Jersey
- Jordanie
- Kazakhstan
- Kenya
- Norvège
- Nouvelle-Calédonie
- Nouvelle-Zélande
- Oman
- Ouganda
- Ouzbékistan
- Pakistan
- Palaos
- Panama
- Papouasie - Nouvelle-Guinée
- Paraguay
- Pays-Bas
- Pérou
- Philippines
- Pologne
- Polynésie française
- Porto Rico
- Portugal
- Qatar
- République centrafricaine
- Thaïlande
- Timor-Oriental
- Togo
- Tokélaou
- Tonga
- Trinité-et-Tobago
- Tunisie
- Turkménistan
- Turquie
- Tuvalu
- Ukraine
- Uruguay
- Vanuatu
- Venezuela
- Viêt Nam
- Wallis-et-Futuna
- Yémen
- Zambie
- Zimbabwe

La Commission publiera toutes les contributions à la présente consultation publique. Vous pouvez choisir d'autoriser la publication de vos coordonnées ou de rester anonyme lors de la publication de votre contribution. **Dans un souci de transparence, le type de répondant [par exemple «association d'entreprises», «organisation de défense des consommateurs» ou «citoyen(ne) de l'UE»], le pays d'origine, le nom et la taille de l'organisation, ainsi que son numéro d'inscription au registre de transparence, sont toujours publiés. Votre adresse électronique ne sera jamais publiée.** Veuillez

choisir l'option en matière de protection de la vie privée qui vous convient le mieux. Options en matière de protection de la vie privée par défaut en fonction du type de répondant sélectionné

* Paramètres de confidentialité pour la publication de la contribution

La Commission publiera les réponses reçues à la présente consultation publique. Vous pouvez choisir de consentir à la publication de vos coordonnées ou de rester anonyme.

Mode anonyme

Publication des informations relatives à l'organisation uniquement: le type de répondant choisi pour répondre à la présente consultation, le nom de l'organisation au nom de laquelle vous répondez ainsi que son numéro d'inscription au registre de transparence, sa taille, son pays d'origine et votre contribution seront publiés tels quels. Votre nom ne sera pas publié. Veuillez ne pas inclure de données à caractère personnel dans la contribution proprement dite si vous souhaitez rester anonyme.

Mode public

Publication des informations relatives à l'organisation et au répondant: le type de répondant choisi pour répondre à la présente consultation, le nom de l'organisation au nom de laquelle vous répondez ainsi que son numéro d'inscription au registre de transparence, sa taille, son pays d'origine et votre contribution seront publiés. Votre nom sera également publié.

J'accepte les [dispositions relatives à la protection des données à caractère personnel](#).

* Langue de votre contribution

- Allemand
- Anglais
- Bulgare
- Croate
- Danois
- Espagnol
- Estonien
- Finnois
- Français
- Grec
- Hongrois
- Irlandais

- Italien
- Letton
- Lituanien
- Maltais
- Néerlandais
- Polonais
- Portugais
- Roumain
- Slovaque
- Slovène
- Suédois
- Tchèque

Questionnaire sur la révision de la réglementation de l'UE relative aux médicaments pour le traitement des maladies rares et aux médicaments à usage pédiatrique

Q1: Les principaux problèmes recensés lors de l'évaluation de la législation relative aux médicaments pour le traitement des maladies rares et aux médicaments à usage pédiatrique étaient les suivants:

- **Développement insuffisant dans les domaines où les patients en ont le plus besoin.**
- **Disponibilité inégale, accès différé et traitements souvent inabordables pour les patients des États membres de l'UE.**
- **Mesures inadéquates pour adopter les évolutions scientifiques et technologiques dans les domaines des maladies pédiatriques et des maladies rares.**

Selon vous, existe-t-il d'autres obstacles à la mise au point de traitements contre les maladies rares et de médicaments à usage pédiatrique?

2000 caractère(s) maximum

Le rapport d'évaluation indique clairement que la législation relative aux médicaments pédiatriques n'a pas été efficace pour les enfants atteints de cancers.

Ainsi, très peu de médicaments ont été approuvés en oncologie pédiatrique (entre 2011 et 2015 : 70 médicaments anti-cancers approuvés chez l'adulte, seulement 2 chez l'enfant) et la grande majorité des médicaments administrés aux enfants sont encore "off label" (non testés ni approuvés chez l'enfant).

Dans le contexte législatif actuel et alors que l'innovation foisonne dans les cancers des adultes, les enfants sont oubliés ; seulement 10% des enfants en Europe ont accès à l'innovation alors que le cancer est la 1ère cause de décès des enfants de +1 an en Europe .

les principaux obstacles sont :

- l'art 11b du règlement sur les médicaments pédiatrique donne la possibilité aux industriels de ne pas développer leur médicament anti cancer si la maladie visée n'existe pas chez l'enfant. Mais les cancers des adultes sont différents des cancers des enfants. Cependant, l'action d'un médicament pour le cancer de l'adulte peut avoir un bénéfice chez l'enfant.

L'article 11b doit être modifié afin d'obliger les industriels à développer leur molécule selon le mécanisme d'action du médicament et non le type de cancer. (c'est ce qui a été voté aux USA avec le Race for Children Act, 2019)

-les incitations mentionnées dans le règlement sur le médicament pédiatrique interviennent tardivement .

-En Europe, un médicament approuvé pour le cancer de l'adulte peut prendre 10 ans avant d'être approuvé chez l'enfant ! (ex le Crizotinib) .

-la procédure et les données requises pour les Plans d'investigation pédiatriques sont inadaptées et doivent être simplifiées.

Q2: Selon vous, et sur la base de votre expérience, quelle a été l'incidence supplémentaire de la COVID-19 sur les principaux problèmes recensés dans le cadre de l'évaluation? Y a-t-il une «leçon à tirer» de la pandémie que l'UE pourrait appliquer en ce qui concerne les traitements contre les maladies rares et les médicaments à usage pédiatrique?

2000 caractère(s) maximum

La pandémie de COVID-19 a montré qu'en cas de priorité de santé, l'Europe est capable de :

- dédier un budget approprié et à la hauteur des enjeux
- d'accélérer les découvertes de nouveaux traitements
- réduire les délais administratifs d'autorisation des essais cliniques et d'autorisation de mise sur le marché des médicaments

L'Europe doit continuer à mettre la priorité sur la santé et notamment sur les cancers pédiatriques, 1ère cause de décès des enfants en Europe.

Par ailleurs, la recherche effectuée sur les vaccins à ARN messenger est prometteur sur de futurs vaccins contre le cancer. C'est une piste à explorer en priorité , notamment pour les cancers et particulièrement sur les cancers pédiatriques.

Q3: Selon vous, dans quelle mesure les approches énumérées ci-dessous sont-elles appropriées pour mieux répondre aux besoins des patients atteints de maladies rares?

maximum 4 ligne(s) ayant reçu une réponse

	Très appropriées	Modérément appropriées	Pas du tout appropriées
Lorsqu'on examine si un médicament donné peut bénéficier d'une aide, la rareté de la maladie - le nombre total de cas de maladie à un moment donné, actuellement inférieur à 5 cas pour 10 000 personnes - constitue le principal élément de la réglementation de l'UE relative aux médicaments destinés aux patients atteints de maladies rares.	<input checked="" type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
Certaines maladies sont fréquentes, mais elles durent relativement peu de temps (par exemple, certains cancers rares). Celles-ci sont couvertes par la réglementation de l'UE relative aux médicaments contre les maladies rares et relèvent du principe de rareté. Toutefois, étant donné que de nombreux patients souffrent de telles maladies pendant une période déterminée et limitée, ces maladies ne devraient <u>plus</u> être considérées comme rares dans l'UE.	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>

<p>Parmi tous les médicaments contre les maladies rares qui deviennent accessibles aux patients de l'UE, seuls ceux qui apportent un bénéfice manifeste aux patients devraient être récompensés. Des règles claires devraient s'appliquer pour décider si un médicament apporte un bénéfice manifeste aux patients par rapport à tout autre traitement disponible dans l'UE pour une maladie rare spécifique.</p>	<input checked="" type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
<p>Des incitations et des récompenses supplémentaires devraient exister pour les médicaments susceptibles de répondre aux besoins non satisfaits de patients atteints de maladies rares, par exemple dans les domaines où il n'existe aucun traitement.</p>	<input checked="" type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Autre (veuillez proposer d'autres critères/approches que vous jugez pertinents).

2000 caractère(s) maximum

Avec près de 100 types de cancers différents, chaque cancer pédiatrique est rare et avec peu de patients. Il est donc primordial de pouvoir choisir le meilleur traitement possible pour guérir plus et mieux les enfants et adolescents (70% vont décéder ou avoir des séquelles graves)

-la priorisation des développements de médicaments innovants selon l'approche "pediatric strategic forum" initiée par la plateforme ACCELERATE :

Ces forums de discussions incluant les industriels, académiques, parents, patients et régulateurs (EMA, FDA) ont démarrés dans les cancers pédiatriques et s'avèrent être un bon modèle pour choisir efficacement le meilleur traitement innovant disponible.

Il s'agit de prioriser le développement de médicaments innovants (pas de priorisation par type de maladie), afin de mettre en place les essais cliniques les plus pertinent et les plus efficaces pour l'enfant.

-Faciliter la fourniture gratuite du médicament dans les essais académiques si l'action du médicament a une cible potentielle chez l'enfant et que les données chez l'adulte montrent une efficacité et une toxicité acceptables.

-le développement obligatoire ou la licence d'office comme moyen d'imposer le développement d'un médicament chez l'enfant dans le cas où des données d'efficacité sont démontrées dans le cadre d'un essai clinique académique (sur des cancers incurables, au pronostic très sombre, ou si le traitement améliore considérablement la qualité de vie)

Q4: Quels sont les facteurs importants à prendre en considération pour décider si un médicament contre une maladie rare apporte plus de bénéfices que d'autres traitements disponibles?

2000 caractère(s) maximum

- l'amélioration du taux de survie à long terme
- l'amélioration de la durée de survie sans progression de la maladie
- réduite la toxicité des traitements et donc les séquelles
- avoir le potentiel d'améliorer le traitement de première ligne des cancers pédiatriques

Q5: Qu'est-ce que vous considérez comme un besoin thérapeutique non satisfait chez des patients atteints de maladies rares et des enfants?

- Il n'existe pas de médicament autorisé disponible pour une maladie rare particulière ou une maladie touchant des enfants, et aucun autre traitement médical n'est disponible (par exemple, chirurgie).
- Des traitements sont déjà disponibles, mais leur efficacité et/ou leur innocuité ne sont pas optimales. Par exemple, ils ne traitent que les symptômes.
- Des traitements sont disponibles, mais imposent une charge élevée aux patients. Par exemple, des visites fréquentes à l'hôpital pour se faire administrer le médicament.
- Des traitements sont disponibles, mais ils ne sont pas adaptés à toutes les sous-populations. Par exemple, il n'existe pas de doses et/ou de formulations adaptées, comme des sirops ou des gouttes, pour un usage pédiatrique.

Autre (veuillez préciser):

2000 caractère(s) maximum

Les enfants et adolescents diagnostiqués avec un cancer doivent survivre et bénéficier de traitements ayant le moins d'impact possible sur leur vie sociale et leur développement.

Les traitements doivent ainsi être le plus court possible et avec le moins d'effets secondaires sévères (amputations, ablation d'organes, perte de fertilité, problèmes cardiaques, cancers secondaires, post-traumatismes, etc.)

Q6: Laquelle des mesures suivantes serait, selon vous, la plus efficace pour stimuler la mise au point de médicaments répondant aux besoins thérapeutiques non satisfaits de patients souffrant d'une maladie rare et/ou le développement de médicaments à usage pédiatrique? (1 étant la moins efficace, 10 étant la plus efficace)

maximum 4 ligne(s) ayant reçu une réponse

	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10

Aide à la recherche et au développement (R & D), dans le cadre desquels les médicaments en cours de développement peuvent bénéficier d'un financement national et/ou de l'UE	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>
Soutien scientifique supplémentaire à la mise au point de médicaments par l'Agence européenne des médicaments	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>
Assistance aux procédures d'autorisation, telles que l'examen prioritaire de la demande par l'Agence européenne des médicaments et/ou l'approbation accélérée par la Commission européenne	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>
Incitations supplémentaires après l'autorisation qui complètent ou remplacent les incitations et récompenses actuelles	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>

Avez-vous d'autres suggestions qui permettraient à l'UE de stimuler la mise au point de médicaments spécifiques?

2000 caractère(s) maximum

-la simplification des processus administratives pour stimuler l'ouverture des essais cliniques académiques et industriels .

-le règlement sur les essais cliniques doit être mis en œuvre dans tous les États membres, afin d'accélérer l'ouverture des essais cliniques entre les pays.

-la promotion en Europe d'essai cliniques plateforme permettant de comparer simultanément plusieurs nouveaux traitements et accélérer ainsi l'innovation (cf ESMART dans les cancers pédiatriques) : cela nécessite des financements, mais aussi de faciliter l'octroi des molécules et d'alléger les contraintes administratives d'ouverture de ce type d'essai clinique.

-la plupart des cancers pédiatriques ne suscitent aucun intérêt commercial

parce qu'ils ne sont pas rentables.

L'UE devrait investir spécifiquement (budget dédié) pour soutenir le développement de médicaments pour les maladies pédiatriques rares

-L'harmonisation des règlementation entre les États-Unis et l'Europe doit être recherchée : ex : le Race for children Act et le règlement sur les médicaments pédiatriques.

-Une meilleure collaboration entre l'EMA et la FDA sont nécessaires pour garantir et accélérer un processus de développement efficace des médicaments en oncopédiatrie.

Voyez-vous des inconvénients aux approches ci-dessus? Veuillez préciser votre réponse.

2000 caractère(s) maximum

L'un des enjeux majeurs de l'oncologie pédiatrie est la faisabilité et le recrutement dans les essais cliniques . Dans le cas des maladies rares, si plusieurs essais se disputent la même population, chacun de ces essais est voué à l'échec.

Par conséquent, il est essentiel d'identifier les meilleurs médicaments à étudier afin d'éviter toute perte de chance pour les jeunes patients.

La plateforme ACCELERATE propose en concept innovant avec les forums stratégiques pédiatriques. Ces forums réunissent tous les acteurs concernés (académiques, industriels, patients/parents et régulateurs) . Ils offrent un excellent moyen de s'assurer que les meilleurs médicaments sont identifiés avant d'initier tout nouveau plan d'investigation pédiatrique.

Le PMR et l'ODR doivent prévoir un mécanisme permettant de convoquer des réunions stratégiques pour discuter des meilleurs solutions thérapeutiques possibles en l'état de la science.

Le sujet peut être abordé par classe de médicaments (un type donné d'inhibiteurs par ex.), par domaine de la maladie (ex pour les lymphomes) ou par domaine d'innovation (médicaments épigénétiques ou cellules CAR-T).

Les conclusions de ces réunions doivent être publiées et servir de base à la décision de l'EMA d'accorder ou non une dérogation ou de rendre obligatoire un plan d'investigation pédiatrique.

Q7: Parmi les options suivantes, laquelle pourrait, selon vous, aider à offrir à tous les patients de l'UE (quel que soit leur lieu de résidence dans l'UE) un meilleur accès aux traitements contre les maladies rares ou aux médicaments à usage pédiatrique?

- Disposer d'un plus grand nombre d'autres possibilités de traitement. Par exemple, en permettant à un produit générique ou biosimilaire d'entrer plus rapidement sur le marché.
- Permettre aux entreprises qui perdent leur intérêt commercial dans le traitement contre une maladie rare ou un médicament à usage pédiatrique de transférer leur produit à une autre entreprise, ce qui encouragerait la poursuite du développement et la continuité du marché.
- Mettre les médicaments sur le marché rapidement dans tous les États membres qui en ont besoin dès que ces produits ont reçu une autorisation de mise sur le marché, afin que les entreprises puissent bénéficier pleinement d'un soutien et d'incitations.

Autre (veuillez proposer toute autre solution que vous jugez pertinente).

2000 caractère(s) maximum

Prix des médicaments

Nous avons besoin de transparence sur les prix des médicaments afin de les rendre plus abordables.

Mécanisme d'action

Les cancers de l'adulte sont différents des cancers des enfants. Dans le règlement sur les médicaments pédiatriques, les plans d'investigation pédiatrique ne sont pas requis pour les nouveaux médicaments développés pour un cancer de l'adulte. Pourtant, le mécanisme d'action d'un médicament développé pour un cancer de l'adulte peut être pertinent pour un cancer pédiatrique.

Aux États-Unis, depuis 2019, la loi "Race for Children", permet d'obliger les industriels à développer chez l'enfant leur médicament destiné à adulte si l'action du médicament le justifie.

Nous avons besoin d'une réglementation similaire en Europe et un alignement entre l'UE et les États-Unis permettrait de faciliter la coopération internationale (essentielle pour les maladies rares).

Médicaments arrêtés

Certains laboratoires décident d'arrêter le développement de leurs médicaments pour un type de cancer adulte mais ces médicaments pourraient encore être utilisés pour un cancer pédiatrique (mécanisme d'action).

Nous devons rendre obligatoire le transfert de ces médicaments aux parties intéressées et faciliter ce transfert.

Ce cadre doit être créé conjointement par tous les acteurs concernés : industrie pharmaceutique, chercheurs, patients et autorités.

Les intérêts de la santé publique et de la propriété privée devraient être pondérés pour parvenir à une solution équitable.

Des incitations plus en phase avec les objectifs

Des incitations spécifiques doivent être mises en place pour stimuler le développement de nouveaux médicaments "first in child" (développés dès le départ pour une population pédiatrique) ainsi que de médicaments abandonnés chez l'adulte et repositionnés en pédiatrie.

Q8: La plupart des médicaments contre les maladies rares sont des médicaments innovants. Toutefois, dans certains cas, un médicament plus ancien et bien connu contre une maladie courante peut être repositionné (c'est-à-dire utilisation de médicaments sous licence existants pour de nouveaux usages médicaux) afin de traiter une maladie rare. Selon vous, quel serait le moyen approprié de récompenser des médicaments innovants dans les cas où d'autres traitements sont disponibles:

- Tant les médicaments nouveaux et innovants que les médicaments bien connus repositionnés pour traiter une maladie rare devraient bénéficier de la même récompense
- Les nouveaux médicaments innovants destinés à traiter une maladie rare devraient bénéficier d'une récompense plus importante
- Ne sais pas/sans réponse

Q9: Malgré l'existence d'une procédure spécifique (l'autorisation de mise sur le marché pour un usage pédiatrique, PUMA) dans le règlement pédiatrique, de nombreux médicaments plus anciens qui sont actuellement utilisés pour traiter des enfants n'ont été étudiés que pour une utilisation chez des adultes et, par conséquent, ne disposent pas de la posologie ou formulation appropriées, adaptées à l'utilisation chez de jeunes patients. Toutefois, la mise au point de médicaments qui ont été adaptés pour un usage pédiatrique pourrait également avoir pour conséquence qu'un produit soit plus cher que son équivalent destiné aux adultes. À votre avis:

Le développement d'une posologie ou d'une formulation adaptées à un usage pédiatrique de ces médicaments plus anciens devrait-il être stimulé même si leur prix doit être supérieur à celui des solutions de remplacement disponibles?

- Oui
- Non
- Ne sais pas/sans réponse

Veillez expliquer votre réponse.

2000 caractère(s) maximum

La formulation et le dosage de nombreux médicaments ne sont toujours pas adaptés aux jeunes patients.

Certains médicaments ont une formulation adaptée (comme le sirop) mais pas une concentration adaptée : par exemple, un enfant doit prendre d'énormes quantités de sirop pour recevoir la bonne dose.

Cela crée une charge et des risques importants pour le patient et ses parents ; les parents doivent diviser eux-même des cachets de chimiothérapie ou bien écraser une pilule dans de la compote .

Certains enfants ne peuvent pas encore avaler de cachets et doivent recourir à la formulation en sirop, mais le dosage du sirop est si insuffisant qu'ils doivent boire un verre entier pour recevoir la bonne dose.

Il existe également des sirops dont le goût est si désagréable que c'est une bataille à chaque fois que l'enfant doit le boire.

Comment proposeriez-vous d'encourager la mise au point de posologies ou de formulations adaptées à un usage pédiatrique de ces médicaments plus anciens?

2000 caractère(s) maximum

par la mise en place d'incitations plus efficaces pour les industriels

Comment peut-on s'assurer que les produits ainsi développés apportent un bénéfice raisonnable aux entreprises et atteignent également les patients?

2000 caractère(s) maximum

Les pharmacies des centres universitaires et hôpitaux d'oncologie pédiatrique préparent déjà des formulations liquides adaptées à leur jeunes patients.

Une collaboration entre les industriels et les pharmacies des hôpitaux et centres universitaires pourraient être envisagée pour réduire les couts tout en étant proche des besoins des patients.

Contact

[Contact Form](#)