

Les Enfants souffrant d'un cancer incurable se voient toujours nier l'accès aux innovations thérapeutiques en Europe

14 février 2012

En Janvier 2007, le Règlement Européen sur le Médicament Pédiatrique* a été mis en place dans tous les états de l'Union.

C'était un formidable espoir pour les enfants et les adolescents souffrant d'un cancer et en échec thérapeutique : faciliter l'accès aux nouveaux médicaments développés chez l'adulte.

Il y en a beaucoup. Ils sont très innovants. Certains ont même montré leur grande efficacité dans des cancers de l'adulte résistant aux traitements classiques, comme le mélanome.

5 ANS APRES

Le nombre de nouveaux médicaments anticancéreux disponibles en Europe pour des études cliniques pédiatriques n'a pas augmenté. Il est toujours 10 fois plus faible qu'aux Etats-Unis.

La grande majorité des enfants en situation d'échec thérapeutique se voient ainsi toujours nier l'accès à une innovation thérapeutique en Europe.

CONSEQUENCES

1. l'urgence de proposer un traitement nouveau en évaluation à des enfants atteints d'une maladie incurable est niée : c'est un **problème éthique**.
2. devant la demande justifiée des parents, les oncologues pédiatres prescrivent des nouveaux médicaments en dehors de toute étude clinique et sans information sur leur efficacité et leur tolérance : c'est un **problème de sécurité sanitaire**.
3. les parents sont tentés d'aller aux Etats-Unis où de nombreuses études de nouveaux médicaments sont en cours (information largement disponible sur le web) et font des sacrifices majeurs : c'est un **problème sociétal**.

POURQUOI ?

L'Agence Européenne du Médicament (EMA) est chargée de la mise en œuvre du règlement pédiatrique.

Elle évalue, approuve ou refuse les plans d'investigation pédiatriques (PIP) soumis par les compagnies pharmaceutiques. Lorsque le médicament ne concerne pas une maladie de l'enfant, l'EMA exempt la compagnie pharmaceutique de l'étudier chez l'enfant.

MAIS

- beaucoup de ces PIPs sont très difficilement faisables car ils concernent des maladies très rares chez l'enfant alors qu'elles sont fréquentes chez l'adulte
 - Par exemple : Trois médicaments doivent être évalués dans les leucémies myéloïdes chroniques de l'enfant qui touchent très peu de cas par an en France
 - Deux médicaments doivent être évalués dans le mélanome métastatique qui touche moins de 5 enfants et adolescents par an en France
- les besoins urgents de maladies graves sont ignorés
 - il n'y a aucun PIP dans le neuroblastome de l'enfant

* Regulation (EC) N° 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use

** Eur J Clin Pharmacol, 2011, 67, 245

- beaucoup de ces PIPs n'ont pas commencé comme 90% des PIPs de nouveaux médicaments approuvés par l'EMA
- des exemptions ont été données par l'EMA pour des médicaments anticancéreux qu'il était justifié d'étudier chez l'enfant. D'ailleurs, ils le sont aux Etats – Unis.

AU TOTAL

1. la mise en œuvre du règlement est trop lourde et trop longue pour chaque PIP entraînant une inertie importante et un retard majeur dans la mise en œuvre des études pédiatriques.

2. le règlement ignore les particularités des cancers de l'enfant parce qu'il s'applique aux maladies de l'adulte qui existent chez l'enfant (asthme, hypertension,.....) alors que les cancers de l'enfant sont différents des cancers de l'adulte même s'ils sont traités par les mêmes médicaments

QUE FAIRE ?

Changer et simplifier l'implémentation du règlement par l'EMA.

Il faut que :

- les toutes premières études des médicaments anticancéreux chez l'enfant soient réalisées en Europe AVANT qu'un PIP soit déposé
- les PIPs considèrent les spécificités des cancers de l'Enfant
- l'on puisse présenter un seul PIP (modèle électronique et centralisé) au lieu de un dossier par pays (perte de temps et augmentation des coûts administratifs)

UNE OPPORTUNITE EN 2012 QU'IL FAUT SAISIR

L'EMA doit faire un rapport d'activité sur les 5 premières années de la mise en œuvre du règlement.

C'est le moment :

- de bien identifier les problèmes et les dysfonctionnements pour les médicaments anticancéreux
- de faire les changements nécessaires pour simplifier et améliorer l'implémentation du règlement

Sans cela

- le règlement n'atteindra pas, dans le domaine du cancer, les objectifs qu'ont voulu les parlementaires européens pour améliorer la santé des enfants en Europe.
- des enfants souffrant d'un cancer incurable en Europe se verront toujours niés le droit à une chance thérapeutique supplémentaire.

* Regulation (EC) N° 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use

** Eur J Clin Pharmacol, 2011, 67, 245