

Entretien avec Soizic Courcier, GSK France

Notre partenaire Cristina Gil parle Soizic Courcier, GSK France.

Pour quoi la recherche des médicaments pour enfants se développe si lentement?

Les obstacles limitant les recherches chez l'enfant sont: petit nombre de patients, connaissance encore insuffisante de la biologie des maladies pédiatriques pour identifier les cibles potentielles, impact insuffisant de la réglementation pédiatrique en Europe et aux États-Unis, crainte des industriels quant à la prise de risque sur ces médicaments spécifiques par rapport aux médicaments pour adultes.



Dans les cancers de l'enfant, les essais cliniques portant sur des traitements innovants sont proposés pour les formes les plus graves et dans les situations d'échec thérapeutique. La participation à un essai clinique est étroitement encadrée et réglementée. Aucun enfant ne peut être inclus sans le consentement éclairé de ses parents et son propre assentiment quand il peut être recueilli.

L'enfant est un être en croissance, d'où la nécessité de faire des études de toxicité sur animaux juvéniles et de réaliser des études cliniques spécifiques. Les données obtenues chez l'adulte ne sont pas toujours immédiatement transposables chez l'enfant (métabolisme, physiopathologie différentes) en fonction des maladies. Il est aussi nécessaire de mettre au point des formulations liquides avec des études de bio équivalence.

Les maladies pédiatriques sont majoritairement des maladies rares (peu de patients en nombre absolu), Ex des cancers pédiatriques, au total 15000 cas /an en Europe, avec plus de 60 entités différentes. Ceci impacte la faisabilité des développements cliniques.

La mise en œuvre des essais cliniques est difficile avec un recrutement long même avec des études internationales multicentriques; Nécessité de schémas d'études particuliers : Les enfants ne sont pas des adultes miniatures.

Por quoi les entreprises pharmaceutiques ne sont pas intéressées á investir dans ce secteur?

Depuis le Règlement Européen mis en place en janvier 2007, avec les plans d'investigations pédiatriques, les entreprises investissent aujourd'hui dans le développement pédiatrique

Que pensez-vous, quel est votre avis sur le nouveau Règlement UE 536/2014?

Ce Règlement du PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL, du 16 avril 2014 est relatif aux essais cliniques de médicaments à usage humain et abrogeant la directive 2001/20/CE. Pas de spécificité pour les essais cliniques pédiatriques. La centralisation de la demande d'autorisation (guichet unique) est censée accélérer l'obtention des autorisations d'essais cliniques. Cette directive renforce la protection des patients inclus dans les essais cliniques ce qui est positif

Croyez-vous qu'il contribuera à améliorer la recherche dans le secteur, à augmenter les essais cliniques?

L'objectif du règlement est d'augmenter le nombre d'essais cliniques en Europe en simplifiant et harmonisant les autorisations entre les différents pays d'EUROPE: ceci devrait impacter autant les essais chez les adultes que chez les enfants.

Est-il possible que les normes actuelles difficolent l'exercice de ces recherches?

C'est possible car les autorisations aujourd'hui sont nationales, différentes d'un pays à l'autre et rendent plus complexes la réalisation d'un essai international, qui est souvent indispensable chez l'enfant compte tenu de la rareté de la maladie (impossible de trouver le nombre de patients dans un seul pays).

Existe-t-il d'autres facteurs qui pourraient aider à un développement plus efficace?

Le soutien et développement de réseaux d'investigations cliniques pédiatriques internationaux est un facteur essentiel pour favoriser la réalisation des essais cliniques chez l'enfant

De nouvelles « Lignes directrices relatives au format et au contenu des demandes d'approbation ou de modification d'un plan d'investigation pédiatrique et des demandes de dérogation ou de report, à la mise en oeuvre de la vérification de conformité ainsi qu'aux critères d'évaluation concernant la pertinence des études menées 2014/C 338/01 » viennent de paraître au JO de l'UE (27 septembre 2014) ci jointe. Quelques mesures ou incitations pourront peut être avoir un impact positif comme :

- « Les demandeurs sont invités à consulter la communauté de la recherche pédiatrique, par exemple par l'intermédiaire des réseaux européens de recherche pédiatrique de l'Agence, étant donné que leur participation à un stade précoce de la procédure peut faciliter l'élaboration d'un PIP ». Ce point, l'implication très précoce de la communauté pédiatrique, me paraît très important.

-«Si les demandeurs ont l'intention de soutenir que les mesures sont irréalisables au sein de la population pédiatrique, il convient de fournir une justification adéquate et détaillée à l'appui de cette affirmation ».