

# Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 24/06/2013 - Document de suivi

La Commission présente un rapport général sur les enseignements à tirer de l'application du règlement (CE) n° 1901/2006 relatif aux médicaments à usage pédiatrique, cinq ans après l'entrée en vigueur du règlement.

Le rapport conclut qu'il est **trop tôt pour tirer un bilan ferme**. Malgré plus de cinq années d'application, les véritables retombées du règlement sur la santé des enfants ne se manifesteront qu'au fil du temps, à mesure que les enseignements à plus long terme s'accumuleront. **Des signes encourageants peuvent néanmoins être décelés.**

**Recherches de meilleure qualité et plus sûres** : avant l'entrée en vigueur du règlement pédiatrique, de nombreuses sociétés pharmaceutiques considéraient que leur principal marché était la population d'âge adulte. Les recherches sur l'utilisation potentielle d'un médicament pour adultes sur la population pédiatrique étaient fréquemment reléguées au second plan, voire totalement ignorées. Depuis que le règlement a instauré l'obligation pour ces sociétés d'étudier chaque nouveau médicament (pour adultes) afin d'en déterminer l'utilisation pédiatrique potentielle, **la situation s'est inversée.**

Fin 2012, l'Agence avait approuvé 600 plans d'investigation pédiatrique, dont 453 portaient sur des médicaments qui n'étaient pas encore autorisés dans l'UE; les autres plans concernaient de nouvelles indications de médicaments protégés par un brevet ou des autorisations de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique.

**Davantage de médicaments disponibles pour les enfants** : en douze ans (de 1995 à 2006), 108 des 317 indications de 262 médicaments ayant bénéficié d'une autorisation centralisée ont englobé la population pédiatrique. Depuis l'entrée en vigueur du règlement pédiatrique, **31 nouveaux médicaments sur 152 au total ont été autorisés pour un usage pédiatrique.** Ces chiffres sont susceptibles d'augmenter à l'avenir, car un nombre considérable des nouveaux médicaments déjà autorisés fait actuellement l'objet d'un plan d'investigation dont l'achèvement a été reporté afin d'éviter des retards dans l'autorisation des médicaments pour adultes. Dans les prochaines années, **une fraction sensiblement accrue** de ces 152 nouveaux médicaments devrait donc obtenir une autorisation pour l'usage pédiatrique.

**Augmentation des informations sur les médicaments utilisés chez les enfants** : depuis 2008, plus de 18.000 rapports d'étude sur environ 2.200 médicaments ont été soumis, ce qui atteste la quantité substantielle d'informations pédiatriques disponibles dans les sociétés.

Le rapport note que si le règlement constitue **un puissant catalyseur** pour l'amélioration de la situation des jeunes patients, **certaines faiblesses et lacunes sont également apparues** durant les cinq années écoulées. Leurs répercussions sur les performances globales du règlement doivent être surveillées attentivement :

- **L'accès aux traitements** : depuis 2008, plus de 600 plans d'investigation pédiatrique ont été approuvés. Toutefois, **seule une petite partie d'entre eux sont terminés à l'heure actuelle**, tandis que la procédure suit son cours pour une écrasante majorité. Cette situation s'explique par les longs cycles de conception des médicaments, qui durent couramment plus d'une décennie, et par le report pratiquement systématique des études pédiatriques. Le nombre élevé de reports n'était pas prévu à l'origine, mais il constitue aujourd'hui une réalité, étant entendu que pour la plupart des médicaments autorisés jusqu'à présent, le programme de R-D avait commencé avant l'entrée en vigueur du règlement. Par conséquent, les exigences pédiatriques n'ont pu être prises en considération dès le début de la conception des médicaments.

En outre, d'aucuns ont critiqué le règlement en arguant qu'il ne réussirait pas à produire des avancées décisives dans des domaines où les besoins pédiatriques sont particulièrement aigus, tels que **l'oncologie pédiatrique**. Cet argument tient au fait que les médicaments concernés ciblent principalement des pathologies rencontrées chez les adultes et sont conçus dans des domaines où il existe un besoin (ou un marché) pour la population adulte, besoin qui ne correspond pas nécessairement à ceux de la population pédiatrique.

De surcroît, le règlement accorde **des dérogations** lorsque la maladie ou l'affection au traitement desquelles le médicament concerné est destiné n'existent que chez les populations adultes. Cette stratégie législative suscite des frictions dans le cas de maladies qui se rencontrent spécialement et exclusivement chez les enfants.

- ***Le concept de l'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique*** : en guise d'incitation à mener des recherches sur l'usage pédiatrique potentiel de médicaments qui ne sont pas protégés par un brevet et ont été autorisés pour les adultes, cette autorisation offre huit ans d'exclusivité des données et dix ans d'exclusivité commerciale à tout nouveau médicament non protégé par un brevet qui a été élaboré exclusivement aux fins de l'utilisation auprès de la population pédiatrique.

Le concept de l'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique **n'a pas, à ce jour, répondu aux attentes initiales**. À ce jour, une seule autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique a été délivrée et quelques autres projets sont en cours.

À l'avenir, l'Agence européenne des médicaments acceptera les plans d'investigation pédiatrique tendant à l'obtention d'une autorisation de ce type qui ne couvrent que certaines tranches d'âge, et non la population pédiatrique tout entière. Une partie des réserves qui grèvent actuellement une meilleure mise en pratique de ce concept pourrait ainsi être levée.