

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 26/10/2017 - Document de suivi

Après un premier rapport publié en 2013, la Commission a présenté un **deuxième rapport** sur l'influence du règlement pédiatrique (Règlement (CE) n° 1901/2006) dix après son adoption.

Le rapport rend compte des répercussions du règlement sur la santé publique et de l'impact économique, et analyse dans quelle mesure ses objectifs ont été atteints. Il repose sur un rapport décennal rédigé par l'Agence européenne des médicaments (EMA), une étude externe commandée par la Commission, une consultation publique ainsi que des discussions avec les États membres, le Parlement européen et les parties intéressées.

Pour rappel, le règlement pédiatrique est structuré autour de **trois grands objectifs**:

- encourager et permettre la conduite de recherches de qualité pour la conception de médicaments destinés aux enfants;
- assurer qu'à terme la majorité des médicaments utilisés chez les enfants seront expressément autorisés pour cette utilisation suivant des formes et des formulations appropriées à l'âge; et
- accroître la disponibilité d'informations de qualité sur les médicaments utilisés chez les enfants.

Les principales constatations du rapport sont les suivantes :

Plus de médicaments pour les enfants: les chiffres montrent que le règlement a eu des **répercussions importantes** sur le développement des médicaments à usage pédiatrique au sein de l'Union. Les entreprises pharmaceutiques considèrent maintenant ce développement comme faisant partie intégrante du développement général des médicaments.

Entre 2007 et 2016, **plus de 260 nouveaux médicaments à usage pédiatrique ont été autorisés**. En outre, le nombre de plans d'investigation pédiatrique (PIP) achevés est en nette hausse. Ce résultat, qui n'aurait pas été obtenu sans une législation spécifique, souligne que **le règlement garde sa pertinence**. En outre, les mesures prises pour améliorer son application ont progressivement renforcé son efficacité.

Meilleurs médicaments: ces dix dernières années, la **disponibilité** des médicaments destinés aux enfants s'est considérablement améliorée dans certains champs thérapeutiques grâce au règlement. La rhumatologie ou les maladies infectieuses sont souvent citées en exemple.

L'accroissement de la recherche pédiatrique et du nombre de nouveaux produits présentant des indications pédiatriques spécifiques est encourageant. Dans le même temps, ces évolutions positives ne suivent pas un plan stratégique, mais sont souvent liées aux développements sur le marché des adultes. Ainsi, **le règlement fonctionne mieux dans les domaines où les besoins des patients adultes et pédiatriques coïncident**.

Le rapport note en particulier que pour ce qui est des **maladies rares et/ou touchant exclusivement les enfants** qui sont, dans de nombreux cas, soutenues de la même manière par la législation concernant les médicaments orphelins, aucune grande avancée thérapeutique ne s'est encore concrétisée.

Il semble difficile de comprendre pourquoi les entreprises s'abstiennent de retirer les avantages du [règlement concernant les médicaments orphelins](#) pour les cancers pédiatriques comme elles le font pour

les cancers de l'adulte. Un très grand nombre de nouveaux produits contre le cancer de l'adulte prospèrent grâce au règlement concernant les médicaments orphelins, mais ce n'est pas le cas pour les cancers de l'enfant, bien que tous soient considérés comme rares au sens dudit règlement.

Par conséquent, avant de proposer toute modification, la Commission **compte étudier de plus près les effets combinés du règlement concernant les médicaments orphelins et du règlement pédiatrique** en évaluant conjointement ces deux instruments destinés à soutenir le développement de médicaments chez les sous-populations en ayant particulièrement besoin.

Système de récompense: le règlement pédiatrique impose une charge supplémentaire aux entreprises pharmaceutiques en leur demandant de mener des recherches pédiatriques qu'elles n'auraient peut-être pas entreprises par ailleurs. Néanmoins, le règlement associe cette obligation à un système de récompense pour permettre aux entreprises de récupérer, grâce à des périodes de protection prolongées, les frais initiaux supplémentaires découlant de cette charge additionnelle.

Les chiffres montrent que, jusqu'à présent, **seuls 55 % des PIP achevés ont bénéficié d'une récompense** ce qui indique que le système actuel n'est pas encore abouti. De même, le concept d'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique (**PUMA**), avec sa récompense spécifique, n'a pas porté ses fruits.

Prochaines étapes: le présent rapport s'inscrit dans le cadre d'une évaluation approfondie concernant une **vision commune** des paramètres ultérieurs relatifs aux médicaments pédiatriques et orphelins ayant pour but de donner des résultats **d'ici 2019** afin de permettre à la prochaine Commission de prendre une décision éclairée concernant les solutions politiques envisageables.

Dans l'intervalle, la Commission est engagée dans **un programme d'actions concrètes** afin de rationaliser l'application et la mise en œuvre actuelles en collaboration avec l'EMA, le cas échéant. Ce programme comprend:

- l'amélioration de la **transparence** des nouveaux produits autorisés présentant des indications pédiatriques;
- l'analyse de l'expérience du recours aux reports et la prévision de changements de pratique en vue **d'accélérer l'achèvement des PIP**;
- l'exploration des possibilités de discussion concernant les **besoins pédiatriques** dans le cadre d'un dialogue ouvert et transparent réunissant toutes les parties prenantes pertinentes;
- la **communication d'informations régulières** concernant le développement et les tendances du paysage des médicaments pédiatriques au sein de l'Union, ainsi que la promotion de la coopération et de l'harmonisation au niveau international.

Par ailleurs, ce programme continuera de soutenir les soins de santé et la recherche pédiatrique de qualité par l'intermédiaire de **projets tels que les réseaux européens de référence**, qui mettent en relation les prestataires de soins de santé et les centres d'expertise. Ces réseaux pourraient fortement améliorer l'accès au diagnostic et au traitement à court terme et faire la différence en matière de santé des enfants.