Informations de base

2004/0217(COD) COD - Procédure législative ordinaire (ex-procedure codécision) Règlement	Procédure terminée
Médicaments à usage pédiatrique Modification Directive 2001/20/EC 1997/0197(COD) Modification Directive 2001/83/EC 1999/0134(COD) Modification Règlement (EC) No 726/2004 2001/0252(COD) Modification 2006/0207(COD) Modification 2014/0256(COD) **Subject** 4.20.02.06 Essais et expérimentation 4.20.04 Produits et industrie pharmaceutiques	

Acteurs principaux

Parlement européen

Commission au fond	Rapporteur(e)	Date de nomination
ENVI Environnement, santé publique et sécurité alimentaire	GROSSETÊTE Françoise (PPE-DE)	20/01/2005

Commission au fond précédente	Rapporteur(e) précédent(e)	Date de nomination
ENVI Environnement, santé publique et sécurité alimentaire	GROSSETÊTE Françoise (PPE-DE)	20/01/2005

Commission pour avis précédente	Rapporteur(e) pour avis précédent(e)	Date de nomination
ITRE Industrie, recherche et énergie	TOIA Patrizia (ALDE)	27/01/2005
IMCO Marché intérieur et protection des consommateurs	La commission a décidé de ne pas donner d'avis.	

Conseil de l'Union européenne

Formation du Conseil	Réunions	Date
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2663	2005-06-02
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2627	2004-12-06
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2714	2006-03-10
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2733	2006-06-01
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2699	2005-12-08

	Environnement	2757	2006-10-23

Commission européenne	DG de la Commission	Commissaire
	Marché intérieur, industrie, entrepreneuriat et PME	VERHEUGEN Günter

Evénements clés

Date	Evénement	Référence	Résumé
29/09/2004	Publication de la proposition législative	COM(2004)0599	Résumé
27/10/2004	Annonce en plénière de la saisine de la commission, 1ère lecture		
06/12/2004	Débat au Conseil		
02/06/2005	Débat au Conseil		Résumé
13/07/2005	Vote en commission,1ère lecture		
20/07/2005	Dépôt du rapport de la commission, 1ère lecture	A6-0247/2005	
06/09/2005	Débat en plénière		
07/09/2005	Décision du Parlement, 1ère lecture	T6-0331/2005	Résumé
07/09/2005	Résultat du vote au parlement		
10/11/2005	Publication de la proposition législative modifiée	COM(2005)0577	Résumé
10/03/2006	Publication de la position du Conseil	15763/3/2005	Résumé
16/03/2006	Annonce en plénière de la saisine de la commission, 2ème lecture		
04/05/2006	Vote en commission, 2ème lecture		Résumé
08/05/2006	Dépôt de la recommandation de la commission, 2ème lecture	A6-0171/2006	
31/05/2006	Débat en plénière		
01/06/2006	Décision du Parlement, 2ème lecture	T6-0232/2006	Résumé
01/06/2006	Résultat du vote au parlement		
01/06/2006	Débat au Conseil		
23/10/2006	Approbation de l'acte par le Conseil, 2ème lecture		
12/12/2006	Signature de l'acte final		
12/12/2006	Fin de la procédure au Parlement		
27/12/2006	Publication de l'acte final au Journal officiel		

Informations techniques

Référence de la procédure	2004/0217(COD)

Type de procédure	COD - Procédure législative ordinaire (ex-procedure codécision)
Sous-type de procédure	Note thématique
Instrument législatif	Règlement
Modifications et abrogations	Modification Directive 2001/20/EC 1997/0197(COD) Modification Directive 2001/83/EC 1999/0134(COD) Modification Règlement (EC) No 726/2004 2001/0252(COD) Modification 2006/0207(COD) Modification 2014/0256(COD)
Base juridique	Traité CE (après Amsterdam) EC 095
État de la procédure	Procédure terminée
Dossier de la commission	ENVI/6/34376

Portail de documentation

Parlement Européen

Type de document	Commission	Référence	Date	Résumé
Amendements déposés en commission		PE357.553	25/05/2005	
Avis de la commission	ITRE	PE353.602	26/05/2005	
Rapport déposé de la commission, 1ère lecture/lecture unique		A6-0247/2005	20/07/2005	
Texte adopté du Parlement, 1ère lecture/lecture unique		T6-0331/2005 JO C 193 17.08.2006, p. 0126-0224 E	07/09/2005	Résumé
Projet de rapport de la commission		PE370.187	10/03/2006	
Amendements déposés en commission		PE370.256	10/04/2006	
Recommandation déposée de la commission, 2e lecture		A6-0171/2006	08/05/2006	
Texte adopté du Parlement, 2ème lecture		T6-0232/2006	01/06/2006	Résumé

Conseil de l'Union

Type de document	Référence	Date	Résumé
Déclaration du Conseil sur sa position	06603/2006	27/02/2006	
Position du Conseil	15763/3/2005 JO C 132 07.06.2006, p. 0001-0028 E	10/03/2006	Résumé
Projet d'acte final	03623/6/2006	12/12/2006	

Commission Européenne

Type de document	Référence	Date	Résumé
Document de base législatif	COM(2004)0599	29/09/2004	Résumé
Document annexé à la procédure	SEC(2004)1144	29/09/2004	Résumé
	COM(2005)0577		

Proposition législative modifiée		10/11/2005	Résumé
Communication de la Commission sur la position du Conseil	COM(2006)0118	13/03/2006	Résumé
Réaction de la Commission sur le texte adopté en plénière	SP(2006)2902	22/06/2006	
Avis de la Commission sur la position du Parlement en 2ème lecture	COM(2006)0408	19/07/2006	Résumé
Document de suivi	COM(2013)0443	24/06/2013	Résumé
Document de suivi	COM(2017)0626	26/10/2017	Résumé
Document de suivi	SWD(2020)0163	11/08/2020	
Document de suivi	SWD(2020)0164	11/08/2020	

Parlements nationaux

Type de document	Parlement /Chambre	Référence	Date	Résumé
Contribution	PT_PARLIAMENT	COM(2013)0443	06/03/2014	

Autres Institutions et organes

Institution/organe	Type de document	Référence	Date	Résumé
EESC	Comité économique et social: avis, rapport	CES0525/2005 JO C 267 27.10.2005, p. 0001-0008	11/05/2005	

Informations complémentaires

Source	Document	Date
Parlements nationaux	IPEX	
Commission européenne	EUR-Lex	

Acte final

Règlement 2006/1901
JO L 378 27.12.2006, p. 0001 — Résumé

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) nº 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.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 19/07/2006 - Avis de la Commission sur la position du Parlement en 2ème lecture

La Commission accepte intégralement tous les amendements adoptés par le Parlement européen qui sont le résultat d'un compromis auquel sont parvenus le Parlement européen, le Conseil et la Commission en deuxième lecture.

Les amendements à la position commune ont essentiellement trait à:

- des dispositions permettant à la Commission d'adopter des lignes directrices relatives au fonctionnement du système de récompense prévu par le règlement sous la forme d'une extension de six mois du certificat complémentaire de protection;

- l'introduction d'une période de transition de cinq ans à compter de l'entrée en vigueur, réduisant le délai de soumission d'une demande de prorogation du certificat complémentaire de protection;

- diverses clarifications concernant: les règles relatives à l'indépendance et à l'impartialité des membres du comité pédiatrique; la transparence des avis dudit comité; le dialogue précoce entre les sociétés élaborant des médicaments et le comité pédiatrique sur le point de savoir s'il convient de développer un médicament pour les enfants; et la suppression des retards dans l'autorisation des médicaments pour les populations.

La conclusion du compromis global a été facilitée par une déclaration faite par la Commission lors de la plénière de juin 2006 précisant qu'en raison des risques présentés par les substances cancérogènes, mutagènes et toxiques pour la reproduction, la Commission demandera au comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments de formuler un avis sur l'utilisation des ces catégories

de substances comme excipients des médicaments à usage humain, sur la base du règlement 726/2004/CE. La Commission transmettra au Parlement et au Conseil l'avis formulé par le Comité des médicaments à usage humain.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 07/09/2005 - Texte adopté du Parlement, 1ère lecture/lecture unique

Le rapport de Mme Françoise GROSSETÊTE (PPE-DE, FR) a été approuvé par une très large majorité des députés.

Un large consensus s'est dessiné pour améliorer la proposition de la Commission européenne et accélérer le développement des médicaments pour enfants. Les amendements adoptés visent à raccourcir les procédures et les délais administratifs et à améliorer la transparence et l'échange d'information de manière à éviter les essais inutiles.

Afin d'encourager la recherche et l'expérimentation des médicaments à usage pédiatrique, le Parlement demande de prévoir, à l'intérieur des programmes communautaires en faveur de la recherche, des financements destinés à la recherche sur les médicaments à usage pédiatrique non couverts par un brevet ou un certificat complémentaire de protection. A cet égard, ils souhaitent qu'un programme de recherche - qui s'appellerait MICE, pour "Medicines Investigation for the Children of Europe" - soit instauré.

Les députés ont aussi voulu rendre l'action du futur Comité pédiatrique plus efficace. Ce Comité, composé de dix personnes, devrait être mis en place au sein de l'Agence européenne six mois après l'entrée en vigueur du règlement. Il sera chargé notamment d'évaluer en toute indépendance les plans d'investigation scientifiques que lui soumettront les industries pour bénéficier des incitations prévues. Par les amendements proposés, il s'agit de bien identifier les missions de ce comité, d'élargir la composition du comité pédiatrique à différents acteurs des soins pédiatriques, d'assurer le suivi des plans d'investigation pédiatriques, tout en accordant à ce comité la mission importante d'identifier les besoins spécifiques en pédiatrie.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 02/06/2005

Dans l'attente de l'avis du Parlement européen, le Conseil a tenu un débat d'orientation sur une proposition de règlement relatif aux médicaments utilisés en pédiatrie, en vue de la poursuite de l'examen du texte.

Le débat s'est centré sur les deux questions suivantes:

- prorogation de la validité du certificat complémentaire de protection, comme mesure d'encouragement aux investissements dans l'industrie pharmaceutique pédiatrique.

- accessibilité publique des données sur les essais cliniques pédiatriques, en vue d'éviter des essais cliniques pédiatriques inutiles.

Pendant le débat, l'importance de promouvoir la recherche et d'améliorer l'accès aux médicaments pédiatriques dans ce domaine a été particulièrement soulignée, étant donné le besoin de produire des médicaments adaptés aux caractéristiques physiques et psychiques spécifiques des enfants.

Il a été constaté que les délégations reconnaissaient l'effet encourageant d'une mesure de prorogation du certificat de protection. Certaines d'entre elles souhaiteraient cependant poursuivre l'examen de la proposition, notamment en ce qui concerne le délai d'extension et la date de révision de

l'impact d'un tel mécanisme, vu les possibles effets moins positifs qu'une telle mesure peut aussi engendrer (ex: retard de la mise sur le marché de médicaments génériques).

D'une façon générale, les délégations se sont exprimées en faveur d'une plus large diffusion publique des résultats des essais cliniques dans la mesure où elle servirait à éviter des essais cliniques inutiles, la réflexion devant cependant se poursuivre concernant, notamment, l'ampleur de cette diffusion.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 10/03/2006 - Position du Conseil

La position commune a été arrêtée à la majorité qualifiée, la délégation polonaise votant contre. Elle intègre, en partie ou en substance, 42 des 69 amendements adoptés par le Parlement européen en première lecture. 27 amendements ont été rejetés.

Les amendements intégrés dans la position commune concernent les points suivants : les formulations et les modes de délivrance appropriés ; les objectifs du règlement ; la circulation de médicaments sûrs ; l'étendue des essais effectués sur la population pédiatrique ; les membres du comité pédiatrique et lanécessité de s'assurer que les études pédiatriques apportent des bénéficesthérapeutiques ; le moment où doivent avoir lieu les essais sur la population pédiatrique ; le moment où doivent avoir lieu les études sur les enfants ; un programme de recherche sur les médicaments à usage pédiatrique ; le rôle du comité pédiatriquelors de la vérification de la conformité et lors de l'évaluation de la sécurité, de laqualité et de l'efficacité d'un médicament ; l'utilisation des informations figurant dans la base de données des essais cliniques pour éviter toute étude superflue ; la prise en considération des données internationales ; la nécessité d'éviter les essais inutiles ; l'inventaire des besoins thérapeutiques ; le délai de mise en place du comité pédiatrique ; la composition du comité pédiatrique et la consultation du Parlement européen ; les avis du comité pédiatrique et leur publication ; les missions du comitépédiatrique ; le rôle du comité pédiatrique en matière de communication ; les évaluations effectuées dans des pays tiers ; les rapporteurs du comité pédiatrique ; le délai d'information du demandeur ; la liste des dérogations ; les modifications du plan d'investigation pédiatrique ; les décisions de l'Agence ; les informations sur lesproduits ; un logo européen ; les médicaments sur l'étiquette desquels doit figurer le logo européen ; un registre des délais de mise sur le marché ; le retrait de produits ; la prévention des doublons en matière de récompenses ; l'accès du public à l'inventaire ; l'accès du public aux détails des résultats des études figurant dans la base européenne de données ; les lignes directrices relatives à la base de données des essais cliniques ; la nature des études à prendre en considération par le comité pédiatrique ; la publication des noms des contrevenants au règlement ; l'examen du fonctionnement durèglement et du système de récompenses et d'incitations.

Les amendements non repris dans la position commune concernent notamment: le délai de mise sur le marché de médicaments existants dont l' indication pédiatrique a été nouvellement autorisée ; un considérant relatif à un formulaire pédiatrique européen servant à collecter des données sur des médicament ; un considérant relatif à la responsabilité du comité pédiatrique en matière de gestion des risques ; l'abandon de l'exigence qu'un médicament soit autorisé dans tous les États membres ; les banques de données nationales sur les essais cliniques ; les affections congénitales rares ; le nombre de représentants de la Commission et du directeur exécutif ; les intérêts existant dans l'industrie pharmaceutique ; la gratuité de l' assistance scientifique ; les études pédiatriques en cours ; l'étendue des exigences ; la présentation des plans d'investigation pédiatrique ; le délai de présentation d'un plan d'investigation pédiatrique ; les modalités détaillées d'interaction avec le comité pédiatrique ; les informations pédiatriques contenues dans la notice du produit ; un concours européen portant sur la conception d'un logo à utiliser dans l'étiquetage de médicaments pédiatriques ; la pharmacovigilance ; l'exclusion de l'extension du certificat complémentaire de protection dans le cas des produits qui font déjà l'objet d' un brevet pour un usage pédiatrique identique dans l'UE ; le nombre de prorogations du certificat complémentaire de protection ; une procédure simplifiée d'autorisation de mise sur le marché des médicaments orphelins ; l'harmonisation des mesures nationales appliquant les sanctions ; le délai de dépôt d'une demande de prorogation d'un certificat complémentaire de protection ; des mesures transitoires relatives aux plans d'investigation pédiatrique ; la date d'entrée en vigueur des dispositions.

Le Conseil a introduit d'autres modifications par rapport à la proposition modifiée, qui visent notamment à :

- supprimer la référence explicite à l'article 95 du traité ;

- ajouter un nouveau considérant sur la subsidiarité selon un texte convenu entre les institutions ;

- ajouter une définition de l'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique ;

- préciser que chaque membre du comité pédiatrique a un suppléant, que trois membres représentent les professionnels de la santé et que trois membres représentent les associations de patients ;

- renforcer l'indépendance et les intérêts des membres du comité pédiatrique ;

- attribuer au comité pédiatrique une mission supplémentaire, à savoir: recommander un symbole pour l'étiquetage des médicaments bénéficiant d'une indication pédiatrique. Il est stipulé que le comité pédiatrique examine si les études proposées permettent d'escompter un bénéfice thérapeutique important pour la population pédiatrique et/ou répondent à un besoin thérapeutique de cette population ;

- clarifier que les dispositions relatives aux résultats d'études pédiatriques ou à une décision de l'Agence accordant une dérogation ou un report sont applicables à toutes les indications, formes pharmaceutiques et voies d'administration, existantes ou nouvelles ;

- clarifier que les plans d'investigation pédiatrique répondant aux dispositions des articles 8 et 30 peuvent être soumis pour approbation ;

- indiquer que le comité examine l'opportunité des mesures proposées pour adapter la formulation du médicament à son utilisation dans différents sous-ensembles de la population pédiatrique ;

- clarifier que, lorsque les demandes sont présentées selon la procédure prévue aux articles 27 à 39 de la directive 2001/83/CE, la vérification de la conformité, comprenant, le cas échéant, la demande d'un avis du comité pédiatrique, est effectuée par l'État membre de référence ;

- fixer à 10 jours le délai dans lequel l'Agence transmet au demandeur l'avis du comité pédiatrique ;

- indiquer que la notice du produit contient une explication de la signification du symbole, préciser que la Commission choisit le symbole sur recommandation du comité pédiatrique et clarifier les dispositions transitoires ;

- adapter la définition du système de gestion des risques à l'état actuel des connaissances scientifiques ;

- clarifier à qui il appartient de communiquer les résultats des essais cliniques à l'Agence ;

- fixer le délai dans lequel le comité pédiatrique établit des lignes directrices relatives aux données à collecter par les États membres ;

- clarifier que c'est le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché qui soumet les études pédiatriques déjà réalisées, et clarifier le rôle des autorités compétentes dans la mise à jour des informations relatives aux produits ;

- clarifier le rôle des autorités compétentes dans la mise à jour des informations relatives aux produits ;

- définir la «demande de prorogation» ; clarifier les procédures à suivre lorsque des demandes de certificats complémentaires de protection sont à l' examen ; clarifier le contenu d'une demande de prorogation d'un certificat complémentaire de protection et les modalités d'introduction d'une telle demande; préciser que des prorogations peuvent être révoquées si elles ont été accordées contrairement aux dispositions du règlement pédiatrique et préciser les modalités d'une telle révocation; enfin, clarifier le système des recours ;

- attribuer à l'Agence une mission supplémentaire, consistant à prendre des décisions relatives au fonctionnement du règlement pédiatrique.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 13/03/2006 - Communication de la Commission sur la position du Conseil

La Commission soutient la position commune qui est, dans une très large mesure, conforme à sa proposition modifiée. La position commune apporte à la proposition modifiée de la Commission un petit nombre de modifications qui améliorent le texte, tout en préservant les objectifs initiaux de la Commission. Une grande partie de ces modifications ont pour but d'améliorer la présentation du texte ou représentent des améliorations d'ordre rédactionnel sans incidence sur la signification ou l'application pratique du règlement.

Les amendements clés proposés par le Parlement européen en première lecture concernant par exemple la transparence des travaux et la composition du comité pédiatrique, la transparence relative aux essais cliniques sur des enfants, les dispositions applicables en cas d'arrêt de la commercialisation de médicaments, le financement d'études, l'étiquetage des médicaments, la clarification des délais procéduraux, les délais fixés pour la mise en oeuvre du règlement, la prévention du chevauchement des récompenses et la clarification des circonstances dans lesquelles des récompenses sont attribuées, ainsi que la révision du règlement pédiatrique se

retrouvent dans la position commune, parfois avec certaines adaptations rédactionnelles destinées à assurer la cohérence juridique du texte et la praticabilité technique des mesures et des procédures mises en place.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 12/12/2006 - Acte final

OBJECTIF: encadrer et garantir l'autorisation de mise sur le marché de médicaments à usages pédiatrique, spécifiquement conçus et mis au point pour répondre aux besoins thérapeutiques des enfants.

ACTE LÉGISLATIF Règlement (CE) n° 1901/2006 du Parlement européen et du Conseil relatif aux médicaments à usage pédiatrique, modifiant le règlement (CEE) n° 1768/92, les directives 2001/20/CE et 2001/83/CE ainsi que le règlement (CE) n° 726/2004.

CONTENU : le Conseil a adopté le règlement en approuvant la totalité des amendements à la position commune du Conseil votés par le Parlement européen en 2ème lecture de la procédure de codécision.

L'objectif global de la politique poursuivie est de remédier à la situation qui existe actuellement en Europe, à savoir que plus de 50% des médicaments administrés aux enfants n'ont pas fait l'objet d'essai et que leur administration aux enfants n'est pas autorisée. La santé et, partant, la qualité de vie des enfants en Europe risquent de souffrir de cette situation.

Le présent règlement a pour objectif d'améliorer la santé des enfants en augmentant la disponibilité, dans l'ensemble de la Communauté, de médicaments dûment testés et autorisés en vue d'un usage pédiatrique, tout en levant les obstacles aux échanges intracommunautaires de médicaments utilisés en pédiatrie. Le règlement vise en particulier à réaliser les objectifs suivants:

- faire en sorte que les médicaments à usage pédiatrique aient fait l'objet de recherches éthiques d'une grande qualité et d'essais cliniques appropriés ;

- faire en sorte que ces médicaments soient dûment autorisés, et

- améliorer les informations disponibles sur l'usage de médicaments spécialement destinés aux enfants et la transparence des essais cliniques pédiatriques tout en évitant de soumettre des enfants à des essais cliniques inutiles et de retarder l'autorisation de médicaments destinés à d'autres tranches d'âge de la population.

À cette fin, le règlement prévoit une combinaison d'obligations et de mesures d'incitation. La principale obligation découlant du règlement consiste à présenter, dans le cadre de la procédure de demande d'autorisation de mise sur le marché, les résultats d'études cliniques réalisées conformément à un plan d'investigation pédiatrique, ou, s'il s'agit d'un médicament qui n'est pas destiné à un usage pédiatrique, un document attestant l'obtention d'une dérogation. Pour les médicaments protégés par un brevet ou un certificat complémentaire de protection, les mesures d'incitation consistent en une prorogation des droits d'exclusivité. Le règlement vise également à garantir une utilisation sûre des médicaments à usage pédiatrique non protégés par un brevet grâce à la mise en place d'un nouveau type d'autorisation de mise sur le marché pour les médicaments non protégés par un brevet qui ont été dûment testés, à savoir l'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique, ainsi que par des dispositions relatives au financement de la recherche sur l'utilisation appropriée des médicaments à usage pédiatrique non protégés par un brevet.

Un comité scientifique, le « comité pédiatrique », qui possède le savoir-faire et les compétences nécessaires pour développer et évaluer tous les aspects des médicaments destinés aux populations pédiatriques, sera institué au sein de l'Agence européenne des médicaments, au plus tard le 26 juillet 2007. Les membres du comité pédiatrique, nommés pour un mandat de trois ans renouvelable, ne devront détenir aucun intérêt financier ou de quelque autre nature dans l'industrie pharmaceutique susceptible d'affecter leur impartialité ; ils devront s'engager à agir dans l'intérêt public et en toute indépendance, et enfin présenter une déclaration annuelle d'intérêts financiers et leurs avis devront être rendus publics.

Le système proposé concerne les médicaments à usage humain au sens de la directive instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain et est entièrement conforme à la directive de l'UE sur les essais cliniques.

Pour atteindre ses objectifs, le nouveau règlement apporte également certaines modifications au règlement concernant la création d'un certificat complémentaire de protection pour les médicaments, à la directive instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain, au règlement établissant des procédures communautaires pour l'autorisation et la surveillance en ce qui concerne les médicaments et à la directive de l'UE sur les essais cliniques.

A noter que les amendements clés proposés par le Parlement européen en première lecture, concernant par exemple la transparence des travaux et la composition du comité pédiatrique, la transparence relative aux essais cliniques sur des enfants, les dispositions applicables en cas d'arrêt de la commercialisation de médicaments, le financement d'études, l'étiquetage des médicaments, la clarification des délais procéduraux, les délais fixés pour la mise en œuvre du règlement, la prévention du chevauchement des récompenses et la clarification des circonstances dans lesquelles des récompenses sont attribuées, ainsi que la révision du règlement pédiatrique se retrouvent dans le texte final.

Dans une Déclaration, la Commission précise qu'eu égard aux risques présentés par les substances cancérogènes, mutagènes et toxiques pour la reproduction, elle demandera au comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments de formuler un avis sur l'utilisation des ces catégories de substances comme excipients des médicaments à usage humain, sur la base du règlement (CE) no 726/2004, établissant des procédures communautaires pour l'autorisation et la surveillance en ce qui concerne les médicaments à usage humain et à usage vétérinaire et instituant une Agence européenne des médicaments. La Commission transmettra au Parlement et au Conseil l'avis formulé par le Comité des médicaments à usage humain. Dans un délai de six mois suivant la formulation de l'avis du Comité des médicaments à usage humain, la Commission informera le Parlement européen et le Conseil de toute action nécessaire qu'elle envisage de prendre pour assurer le suivi de cet avis.

ENTRÉE EN VIGUEUR : 26/01/2007. L'article 7 est applicable à partir du 26/07/2008 ; l''article 8 est applicable à partir du 26/01/2009. Les articles 30 et 31 sont applicables à partir du 26/07/2007.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 29/09/2004 - Document de base législatif

OBJECTIF : améliorer la santé des enfants en Europe en renforçant la recherche, le développement et l'autorisation de médicaments à usage pédiatrique.

ACTE PROPOSÉ : Règlement du Parlement européen et du Conseil.

CONTENU : la proposition de règlement vise essentiellement à : intensifier le développement de médicaments à usage pédiatrique, garantir que les médicaments utilisés en pédiatrie fassent l'objet de recherches de grande qualité, veiller à ce que ces médicaments soient autorisés de manière appropriée à cet effet, améliorer les informations disponibles sur l'utilisation de médicaments en pédiatrie et réaliser ces objectifs sans soumettre des enfants à des essais cliniques inutiles et en totale conformité avec la directive de l'UE sur les essais cliniques. Le système proposé couvre les médicaments à usage humain au sens de la directive 2001/83/CE. Il se fonde sur l'expérience acquise dans l'application de l'actuel encadrement réglementaire des médicaments en Europe, ainsi que sur les enseignements tirés des exigences imposées aux médicaments pédiatriques et des incitations accordées en faveur de ces produits par la législation américaine et la réglementation européenne sur les médicaments orphelins.

Les principaux éléments de la proposition sont les suivants :

- Le comité pédiatrique : élément clé de la proposition, le comité pédiatrique sera responsable principalement de l'évaluation et de l'approbation des plans d'investigation pédiatrique et des demandes de dérogation et de report. Il pourra également apprécier la conformité avec les plans d'investigation pédiatrique et être invité à évaluer les résultats d'études ;

- Exigences concernant l'autorisation de mise sur le marché : le plan d'investigation pédiatrique sera le document sur lequel se fonderont les études sur des enfants, et il devra être approuvé par le comité pédiatrique. Lors de l'évaluation des plans, le comité pédiatrique devra prendre en compte deux

principes fondamentaux: d'une part, les études ne doivent être réalisées que si l'on peut en escompter un avantage thérapeutique pour les enfants (en évitant tout double emploi) et, d'autre part, les exigences applicables aux études sur les enfants ne doivent pas avoir pour effet de retarder l'autorisation de médicaments destinés à d'autres populations. Les résultats de toutes les études réalisées conformément à un plan d'investigation pédiatrique approuvé et achevé doivent être présentés au moment des demandes, sauf si une dérogation ou un report a été accordé ;

- Dérogations : tous les médicaments développés à l'intention des adultes ne conviennent pas aux enfants ou ne sont pas nécessaires pour traiter ceux-ci, et il importe d'éviter toute étude inutile sur des enfants. Pour tenir compte des situations qui peuvent se présenter, un système de dérogation aux prescriptions précitées est proposé ;

- Report du lancement ou de l'achèvement d'études sur des enfants : parfois, la réalisation d'études sur des enfants est plus appropriée lorsqu'il existe déjà une certaine expérience dans l'administration d'un produit à des adultes; il arrive également que des études sur des enfants durent plus longtemps que les études sur des adultes. Afin de tenir compte de cette circonstance, il est proposé d'instaurer un système de reports, ainsi qu'une procédure de négociation des reports avec le comité pédiatrique ;

- Procédures d'autorisation de mise sur le marché : les procédures instaurées par la législation pharmaceutique existante ne sont pas modifiées par les propositions. Les autorités compétentes auront l'obligation de vérifier la conformité avec le plan d'investigation pédiatrique approuvé au stade de validation atteint pour les demandes d'autorisation de mise sur le marché. Il appartiendra toujours aux autorités compétentes d'évaluer la sécurité, la qualité et l'efficacité des médicaments à usage pédiatrique et de statuer sur les demandes d'autorisation de mise sur le marché ;

- L'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique (PUMA) : afin de créer un instrument propre à encourager la commercialisation de médicaments génériques, un nouveau type d'autorisation de mise sur le marché, l'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique (Pediatric Use Marketing Autorisation - PUMA) est proposé. Une PUMA suivra les procédures d'autorisation existantes, mais portera spécifiquement sur les médicaments développés en vue d'une utilisation exclusive en pédiatrie ;

- Prorogation du certificat complémentaire de protection : dans le cas d'un médicament nouveau ou d'un produit couvert par un brevet ou un certificat complémentaire de protection (CCP), si toutes les mesures prévues dans le plan d'investigation pédiatrique approuvé sont respectées, si le produit est autorisé dans tous les États membres et si des indications pertinentes sur les résultats des études sont incluses dans les informations relatives au produit, la prorogation du CCP de six mois sera accordée ;

- Prorogation de l'exclusivité commerciale pour les médicaments orphelins : il proposé de porter de dix à douze ans la période d'exclusivité commerciale pour les médicaments orphelins si les prescriptions concernant les données relatives à l'utilisation sur l'enfant sont intégralement respectées ;

- Programme européen de recherche pharmaceutique en pédiatrie (Medicines Investigation for the Children of Europe – MICE) : un autre moyen de promouvoir une recherche éthique de grande qualité, propre à favoriser le développement et l'autorisation de médicaments à usage pédiatrique, devrait résider dans le financement d'études sur l'utilisation en pédiatrie de médicaments qui ne sont pas couverts par un brevet ou un certificat complémentaire de protection. La Commission a l'intention d'étudier la possibilité d'instaurer un programme de recherche pharmaceutique en pédiatrie qui tiendra compte des programmes communautaires existants ;

- Informations sur l'utilisation de médicaments pédiatriques : en vue d''accroître l'information disponible sur l'utilisation de médicaments en pédiatrie, il est proposé d'incorporer dans la base européenne de données sur les essais cliniques (EudraCT) des informations sur l'ensemble des études pédiatriques en cours ou achevées, menées dans la Communauté et dans les pays tiers. De plus, le comité pédiatrique dressera un inventaire des besoins thérapeutiques des enfants sur la base d'une enquête qui portera sur les utilisations actuelles des médicaments en Europe. Il est également proposé de créer un réseau communautaire qui relierait les réseaux nationaux et les centres d'essais cliniques en vue de constituer la masse de compétences nécessaire au niveau européen, de faciliter la réalisation d'études, d'accroître la coopération et d'éviter tout double emploi.

IMPLICATIONS FINANCIÈRES : les propositions présentées imposeront des charges aux autorités compétentes, et notamment à l'Agence européenne des médicaments (EMEA). Il est proposé d'accroître la subvention communautaire à accorder à l'EMEA afin de tenir compte des nouvelles tâches :

- lignes budgétaires concernées : 02.040201et 02.040202;

- enveloppe totale de l'action : 21,282 mios EUR pour la période 2007-2012 (1 mio EUR en 2007 ; 3,039 mios EUR en 2008 ; 3,377 mios EUR en 2009 ; 3,598 mios EUR en 2010 ; 5,053 mios EUR en 2011 ; 5,215 mios EUR en 2012).

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 01/06/2006 - Texte adopté du Parlement, 2ème lecture

En adoptant le rapport de Mme Françoise **GROSSETÊTE** (PPE-DE, FR), le Parlement européen a approuvé la position commune du Conseil en vue de l’adoption d’un règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique. Les amendements suivants ont été adoptés :

- il est spécifié que l’article 95 du traité CE constitue la base juridique appropriée pour ce règlement ;

- le Parlement a renforcé l'indépendance des membres du "comité pédiatrique", comité scientifique qui fonctionnera au sein de l'Agence européenne des médicaments. Les membres de ce comité ne devraient détenir aucun intérêt financier ou de quelque autre nature dans l'industrie pharmaceutique susceptible d'affecter leur impartialité ; ils devraient s'engager à agir dans l'intérêt public et en toute indépendance, et enfin présenter une déclaration annuelle d'intérêts financierset leurs avis devraient être rendus publics ;

- un amendement vise à permettre de ne pas retarder la demande d'autorisation de mise sur le marché pour un médicament destiné à l'adulte, tout en prenant en compte l'importance d'études pédiatriques spécifiques auxquelles le demandeur devra se soumettre ;

- en cas de préoccupation(s) particulière(s), le demandeur doit être tenu de présenter un plan de gestion des risques adéquat ;

- toute décision prise par les autorités des États membres en matière de fixation du prix des médicaments ou d'inclusion de ces derniers dans le régime national d'assurance maladie ne devrait en aucun cas influer sur l'octroi d'une récompense accordée sous la forme d'une prorogation de six mois du certificat complémentaire de protection instauré par le règlement 1768/92/CEE ;

- le comité pédiatrique dressera l'inventaire des besoins thérapeutiques en vue notamment de déterminer des priorités de recherche. L'Agence européenne des médicaments rendra cet inventaire accessible au public dans un délai de 2 ans au plus tôt et de 3 ans au plus tard après l'entrée en vigueur du règlement ;

- le Parlement a enfin approuvé une clause transitoire qui prévoit que pendant cinq ans après l'entrée en vigueur du règlement, toute demande de prorogation du certificat complémentaire de protection déjà accordé est introduite au plus tard six mois avant l'expirationdudit certificat.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 29/09/2004 - Document annexé à la procédure

FICHE D'IMPACT DE LA COMMISSION EUROPÉENNE

Pour connaître le contexte de cette problématique, se reporter au document de base de la Commission relatif aux médicaments utilisés en pédiatrie COM(2004)0599 du 29 septembre 2004.

1. OPTIONS POLITIQUES ET IMPACTS :

Option 1 - aucune action : sur la base des éléments disponibles, la question des médicaments pédiatriques ne pourra être traitée dans l'UE sans la mise en place d'un système législatif spécifique. La santé et donc la qualité de la vie et l'avenir des enfants d'Europe peuvent pâtir d'un manque d'essais des médicaments et d'autorisations pour leur utilisation.

Option 2 - autorégulation du secteur : une option potentielle visant à approfondir la recherche, le développement et l'autorisation des médicaments pédiatriques serait de travailler avec l'industrie pour développer un code de bonnes pratiques par lequel l'industrie pourrait s'auto-réguler. Néanmoins, ce système dépendrait entièrement de la bonne volonté de l'industrie. En outre, l'autorégulation placerait l'entièreté de la charge de cette question de santé publique sur l'industrie sans mécanismes de récompense. Enfin, l'intervention publique est requise pour s'assurer que les bonnes études sont réalisées au profit des enfants.

Option 3 - action au niveau des États membres : la question de la santé publique est à l'échelle communautaire et le règlement relatif aux médicaments pédiatriques est également à dimension communautaire. Néanmoins, le projet de règlement laisse le champ libre pour des actions complémentaires menées par les États membres.

Option 4 – des exigences sans récompenses et des incitations sans exigences : accorder une incitation sous la forme de droits de la propriété intellectuelle conduirait certaines sociétés à assurer la recherche, le développement et l'autorisation nécessaires de certains médicaments pédiatriques. Néanmoins, l'élément principal pour la recherche resterait les forces du marché. Cela signifierait que les besoins thérapeutiques des enfants, qui sont les moteurs de la recherche, du développement et de l'autorisation des médicaments dans le projet de législation pédiatrique, pourraient apparaître comme subsidiaires par rapport à la considération du profit.

Option 5 - nouveaux produits : récompenser avec une protection des données : la protection des données pourrait être utilisée pour récompenser l'industrie lorsqu'elle répond aux exigences portant sur les nouveaux produits autorisés et protégés par des brevets. Néanmoins, la protection des données a moins de valeur aux yeux de l'industrie innovante que l'extension du Certificat Complémentaire de Protection (CCP).

Option 6 - nouveaux produits : récompenser avec une exclusivité administrative de marché:un système d'exclusivité "administrative" de marché pourrait être considéré (comme c'est le cas dans le Règlement sur les médicaments orphelins) pour les nouveaux médicaments pédiatriques. Mais les médicaments orphelins sont peu nombreux, le fonctionnement d'un système d'exclusivité "administrative" de marché est donc possible. Sur la base du nombre d'une part des médicaments pédiatriques et d'autre part des multiples autorités compétentes en Europe responsables de l'autorisation des médicaments, ce système serait administrativement impossible pour les médicaments pédiatriques.

Option 7 - produits plus anciens: utiliser comme incitation une exclusivité de marché: un système d'exclusivité "administrative" de marché a été également étudié par la Commission pour les médicaments pédiatriques non brevetés. L'argument central contre ce système est que les produits génériques seront déjà sur le marché. Un système de protection des données est réalisable pour tous les médicaments pédiatriques non brevetés même si l'incitation est moindre quand aucune formulation spécifique pour les enfants n'est exigée.

Impacts économiques et sur le marché intérieur : à court terme, la charge de travail de l'Agence européenne des médicaments (EMEA) et des autorités compétentes nationales augmentera. A plus long terme, les coûts des médicaments et des soins pédiatriques pourront augmenter à mesure que les coûts d'expérimentation seront répercutés. L'impact sur les recettes et les profits des sociétés pharmaceutiques dépendra de l'élasticité des prix des médicaments pédiatriques, de la volonté des ménages à payer, de la volonté des compagnies d'assurance à rembourser. Les professionnels de la santé semblent disposés – et peuvent même se sentir obligés – de passer aux médicaments expérimentés. Les gouvernements nationaux peuvent décider de négocier ou d'appliquer des réductions de prix.

Le projet de règlement créera des emplois pour l'industrie innovante en exigeant le développement et l'autorisation de médicaments pédiatriques.

Il est possible que l'extension de 6 mois du CCP engendre une légère hausse des coûts pour les consommateurs et les assureurs mais la Commission estime que les chiffres doivent être traités avec prudence, puisque la prescription de produits génériques abaissera les coûts. Il y aura des économies résultant d'un traitement plus efficace, moins de réactions négatives aux produits pharmaceutiques et un moindre gaspillage des médicaments.

La Commission estime que la protection des données reste la meilleure incitation et la plus pratique pour les produits non brevetés. L'autorisation de mise sur le marché en vue d'un usage pédiatrique (PUMA) est susceptible d'être efficace là où une formulation ou une forme de dosage spécifique pour les enfants est exigée.

A court terme, les impacts des besoins supplémentaires (l'étiquetage, les exigences en matière de post-marketing, la soumission d'études pré-existantes) signifieront que les médicaments existants, nouvellement expérimentés chez les enfants et autorisés seront disponibles. Les professionnels de la santé acquerront de meilleures connaissances quant à la sécurité des médicaments pédiatriques et, en conséquence, les enfants recevront un traitement plus sûr.

L'étiquetage approprié des médicaments pédiatriques testés créera une définition plus précise des segments pédiatriques et autres du marché des médicaments non brevetés. Les exigences en matière de post-marketing forceront les sociétés à développer une compréhension améliorée de la sécurité, de l'efficacité et de la qualité de leurs médicaments pédiatriques. L'impact de cette exigence ne pourra être analysé qu'ultérieurement.

L'évaluation centralisée optionnelle via la procédure existante de référence communautaire fournit une voie pertinente pour obtenir un avis harmonisé sur l'utilisation pédiatrique des produits déjà autorisés. Elle facilitera également l'accès à davantage de marchés nationaux.

À long terme, les conseils scientifiques gratuits, la communication et la coordination (ainsi que le fonds d'études) généreront des économies d'échelle et un champ d'application pour la R&D pharmaceutique et les essais pédiatriques. Ensemble, ils sont généralement considérés comme une mesure de grande valeur qui fournira un stimulus fort pour la recherche pédiatrique en Europe.

Impact environnemental: le développement et la fabrication de médicaments exigent des ressources naturelles et génèrent des déchets. En outre, les ménages, les médecins et les hôpitaux éliminent régulièrement les médicaments inutilisés. Néanmoins, considérant qu'actuellement, les préparations de médicaments pour adultes sont habituellement utilisées pour traiter des enfants avec le gaspillage évident que cela provoque, le projet de règlement pédiatrique peut effectivement réduire l'impact environnemental lié à l'utilisation des médicaments pour les enfants.

Équité inter/intra générationnelle : les générations futures d'enfants sont plus susceptibles d'être impliquées dans des essais cliniques, mais en échange de meilleurs médicaments leur seront fournis ainsi que des traitements plus efficaces et plus sûrs et une qualité de vie supérieure.

CONCLUSION: la Commission n'a pas retenu les options mentionnées ci-avant et a choisi de présenter un règlement relatif aux médicaments utilisés en pédiatrie. La solution européenne à ce défi de santé publique se justifie de la façon suivante: premièrement, le manque de médicaments pédiatriques testés et autorisés est une question à dimension européenne; deuxièmement, le système actuel pour la réglementation des médicaments est un système à l'échelle européenne (d'où l'intérêt de conserver un tel système). Le présent règlement a ainsi pour but de favoriser le développement de médicaments pédiatriques, d'assurer que ces médicaments fassent l'objet de recherches offrant toutes les garanties éthiques et de qualité et qu'ils soient dûment autorisés en vue d'un usage en pédiatrie, et enfin d'améliorer les informations disponibles sur l'usage de médicaments chez les diverses populations pédiatriques. Il importe d'atteindre ces objectifs sans soumettre des enfants à des essais cliniques inutiles et sans retarder l'autorisation de médicaments destinés à d'autres populations.

2 SUIVI : les mesures suivantes sont prévues dans le projet de règlement : une base de données d'études pédiatriques ; des rapports annuels des États membres à la Commission sur les problèmes rencontrés lors de l'application du règlement ; la publication annuelle des listes de sociétés qui ont bénéficié de récompenses/incitations ou des sociétés qui ne se sont pas conformées aux obligations; et, dans un délai de 6 ans à compter de l'entrée en vigueur, un rapport général sur l'expérience acquise suite à l'application du règlement, y compris, notamment, un inventaire détaillé de tous les médicaments autorisés pour une utilisation pédiatrique depuis sa mise en oeuvre.

Médicaments à usage pédiatrique

2004/0217(COD) - 10/11/2005 - Proposition législative modifiée

Suite à l'avis du Parlement européen en première lecture, la Commission européenne a présenté une proposition modifiée.

La Commission accepte, dans la formulation proposée par le Parlement européen, 18 amendements qui visent à :

- mettre en lumière l'objectif de promouvoir la circulation de médicaments pédiatriques sûrs ;
- souligner que tous les essais effectués sur des enfants ne sont pas nécessairement appropriés ;
- clarifier que la réalisation d'études sur des enfants ne sera pas toujours possible avant l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché pour un médicament destiné à l'adulte et que les dispositions relatives aux médicaments destinés à l'enfant ne doivent pas retarder la demande d' autorisation de mise sur le marché pour un médicament destiné à l'adulte ;
- mettre en lumière le rôle du comité pédiatrique lors de la vérification de la conformité au plan d'investigation pédiatrique et lors de la formulation d'avis sur la sécurité, la qualité et l'efficacité des médicaments pédiatriques ;
- insister sur l'utilisation des informations figurant dans la base de données des essais cliniques en tant que source d'informations et en tant que moyen d'éviter toute étude superflue ;
- souligner l'importance d'une prise en considération des données internationales lors de la mise en place et lors du fonctionnement d'un réseau européen d'essais cliniques ;
- clarifier le fait que les enfants ne doivent pas être soumis à des essais cliniques ou autres, qui soient inutiles ;
-

- clarifier que l'avis du comité pédiatrique est celui adopté par la majorité des membres et que l'avis mentionne les positions divergentes ;
- garantir la désignation d'un rapporteur du comité pédiatrique ;
- clarifier le délai dans lequel l'Agence européenne des médicaments (ci-après dénommée «l'Agence») informe le demandeur de l'avis rendu par le comité pédiatrique ;
- garantir que la liste des dérogations soit régulièrement mise à jour et rendue accessible au public ;
- fixer le délai dans lequel le comité pédiatrique adopte un avis et de clarifier que la demande et l'avis peuvent faire référence à un plan d' investigation pédiatrique, une demande de report ou de dérogation ;
- instaurer un logo européen pour les médicaments utilisés en pédiatrie et assurer que les médicaments dont l'administration aux enfants est déjà autorisée soient munis du logo européen ;
- créer un registre accessible au public, indiquant les délais de mise sur le marché de produits existants dont l'administration aux enfants vient d' être autorisée ;
- garantir que les lignes directrices établies par la Commission et portant sur la base de données des essais cliniques précisent la nature des informations à rendre publiques et la manière dont l'Agence doit procéder à cet effet ;
- clarifier que, lorsqu'il évalue des projets de plans d'investigation pédiatrique, de dérogations et de reports, le comité pédiatrique prend en considération aussi bien les études achevées que les études en cours.

La Commission accepte, dans leur principe, 26 amendements visant notamment à :

- introduire une mention spécifique de la nécessité de formulations et de modes de délivrance appropriés dans le cas de l'enfant ;
- préciser que l'un des objectifs du règlement est de faciliter l'accessibilité des médicaments pédiatriques ;
- faire référence à l'indépendance et l'expérience professionnelle que doivent posséder les membres du comité pédiatrique, ainsi que la nécessité de s'assurer que les études pédiatriques apportent des bénéfices thérapeutiques potentiels importants pour les enfants ;
- clarifier que, dans certaines circonstances, il n'est pas approprié d'effectuer des études sur des enfants en parallèle avec des études sur des adultes ;
- prévoir la mise en place d'un programme de recherche sur l'usage pédiatrique de médicaments non couverts par un brevet ou un certificat complémentaire de protection.
- modifier le contenu du nouvel article 2 ter, relatif à l'inventaire des besoins thérapeutiques ;
- prévoir que le comité pédiatrique doit être opérationnel dans les six mois suivant l'entrée en vigueur du règlement, élargir la composition du comité et prévoir la consultation du Parlement européen avant la désignation des membres nommés par la Commission ;
- prévoir la publication des avis du comité pédiatrique et préciser les missions du comité pédiatrique concernant l'établissement d'un inventaire des besoins thérapeutiques ;
- prévoir des mesures de transparence concernant le rôle du comité et que le comité tient également compte des évaluations effectuées dans des pays tiers ;
- fixer le délai dans lequel l'Agence adopte une décision après la réception d'un avis du comité pédiatrique et disposer que les décisions sont dûment motivées ;
- préciser que les résultats de toutes les études pédiatriques sont inclus dans le résumé des caractéristiques du produit et que, si les informations sont utiles aux patients, elles figurent sur la notice du produit ;
- disposer que, si une entreprise cesse de commercialiser un médicament faisant l'objet d'une autorisation pour un usage pédiatrique et que ce médicament bénéficiait d'une récompense ou d'une incitation au titre du règlement, l'entreprise est tenue d'autoriser un autre opérateur à accéder au dossier d'autorisation de mise sur le marché pour que cet opérateur puisse poursuivre la commercialisation du produit ;
- exclure de la prorogation du certificat complémentaire de protection les produits qui ont bénéficié d'une exclusivité des données ou d'une exclusivité commerciale pour un usage pédiatrique identique au sein de l'UE ;
- permettre l'accès du public à l'inventaire des incitations ainsi qu'aux aux détails des essais réalisés conformément à un plan d'investigation pédiatrique et inclus dans la base européenne de données créée par la directive 2001/20/CE (directive sur les essais cliniques) ;
- publier les noms des contrevenants aux dispositions du règlement.

La Commission ne peut accepter 36 autres amendements qui visent principalement à :

- charger le comité pédiatrique de l'évaluation éthique des plans d'investigation pédiatrique ;
- rendre plus flexibles les délais de mise sur le marché de médicaments existants qui viennent d'être autorisés avec une indication pédiatrique ;
- prévoir l'élaboration d'un formulaire pédiatrique européen en vue de la collecte de données sur les médicaments autorisés dans les États membres ;
- prévoir que, s'il existe des motifs de préoccupation et qu'un système de gestion des risques est instauré après l'autorisation de mise sur le marché, ce système doit être placé sous la responsabilité du comité pédiatrique ;
- lever l'obligation, pour un médicament, d'être autorisé dans tous les États membres pour que la prorogation du certificat complémentaire de protection puisse être accordée ;
- proposer que le certificat complémentaire de protection soit accordé dans les États membres où des procédures de mise sur le marché sont en cours ;
- introduire dans les objectifs du règlement une mention spécifique des produits médicaux destinés au traitement d'affections congénitales rares chez les populations pédiatriques ;
- charger les États membres de collecter les données disponibles relatives aux utilisations actuelles des médicaments et de dresser dans l' année un inventaire des besoins thérapeutiques ;
- charger la Commission et les États membres de mettre en place un programme de recherche sur l'utilisation en pédiatrie de médicaments qui ne sont pas couverts par des brevets ou des certificats complémentaires de protection ;
- limiter le nombre de représentants de la Commission et du directeur exécutif de l'Agence qui sont habilités à participer aux réunions du comité pédiatrique ;
- disposer que tout intérêt direct des membres du comité pédiatrique qui serait susceptible d'avoir un lien avec l'industrie pharmaceutique est déclaré dans un registre accessible au public ;
- préciser, dans la disposition énumérant les missions du comité pédiatrique, que l'assistance scientifique sera gratuite ;

- inclure, dans la demande d'autorisation de mise sur le marché portant sur un nouveau produit, de précisions sur les études pédiatriques en cours et le calendrier prévu pour l'achèvement de celles-ci ;
- prévoir que les demandes d'approbation des plans d'investigation pédiatrique comprennent un rapport succinct; ramener de trente à dix jours le délai de validation de ces demandes par l'Agence; et suspendre le délai accordé aux entreprises pour présenter leurs plans d'études pédiatriques au comité pédiatrique et en discuter avec lui ;
- établir que le comité pédiatrique préconise un délai pour la présentation d'un plan d'investigation pédiatrique modifié ;
- définir les règles détaillées régissant l'interaction entre le demandeur, le rapporteur et le comité pédiatrique ;
- imposer que les informations pédiatriques figurant dans les informations relatives au produit (résumé des caractéristiques du produit et notice) reprennent toujours clairement les indications pédiatriques, approuvées ou non ;
- créer un concours européen portant sur la conception d'un logo appelé à figurer sur les médicaments pédiatriques ;
- exclure une prorogation du certificat complémentaire de protection dans le cas des produits dont la substance active a déjà fait l'objet d'un brevet couvrant l'indication ou la formulation pédiatrique ;
- exclure la possibilité de proroger plus d'une fois le certificat complémentaire de protection pour un médicament ;
- offrir au demandeur une possibilité supplémentaire qui simplifierait la procédure d'autorisation de mise sur le marché de médicaments orphelins ;
- promouvoir l'harmonisation des mesures nationales relatives à l'application des sanctions, mais qui ne prévoit aucun moyen d'assurer cette harmonisation ;
- réduire le délai de dépôt d'une demande de prorogation du certificat complémentaire de protection ;
- instaurer des mesures transitoires relatives aux plans d'investigation pédiatrique ;
- réduire le nombre de mois entre l'entrée en vigueur du règlement et la date d'application des dispositions des articles 8 et 9. Il est estimé que douze mois seront nécessaires à partir du moment où le comité pédiatrique sera opérationnel pour que les sociétés puissent approuver les plans d'investigation pédiatrique, les reports et les dérogations, afin que la disposition puisse être appliquée.

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.