



PedCRIN : Vers de meilleurs médicaments pour les enfants grâce au développement des infrastructures

Qu'est-ce que PedCRIN ?

PedCRIN (*Paediatric Clinical Research Infrastructure Network*) réunit ECRIN (*European Clinical Research Infrastructure Network*) et les partenaires fondateurs d'EPCT-RI (*European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure*) afin de développer des capacités de prise en charge d'essais cliniques pédiatriques multinationaux. PedCRIN est un projet sur quatre ans financé par le programme Horizon 2020 de l'Union Européenne, lancé le 1er janvier 2017ⁱⁱⁱ.

PedCRIN fera efficacement le lien entre les pédiatres et d'autres partenaires en Europe (et à l'international) afin de mettre en commun les ressources et l'expertise nécessaires pour mener et gérer des études solides, tout en minimisant les risques et en protégeant les enfants participants.

Absence de test médicamenteux sur les enfants : conséquences

De nombreux médicaments n'ont pas été testés de manière adéquate sur des enfants ou autorisés à être utilisés chez cette population. L'absence de tests de médicaments pédiatriques a plusieurs conséquences :

- Indisponibilité de formulations pédiatriques appropriées ;
- Les médicaments utilisés sont souvent hors AMM et non autorisés ;
- Les enfants peuvent recevoir un traitement inefficace ;
- Les enfants peuvent recevoir une dose inexacte ;
- Les mises en garde relatives aux effets indésirables éventuels et aux événements indésirables sont insuffisantes pour les médicaments utilisés chez les enfants ;
- De nouveaux médicaments innovants sont disponibles avec une indication pédiatrique, mais sans données probantes sur le bénéfice à long terme et le risque, par exemple les agents biologiques.

Différences entre enfants et adultes

Il est fréquent que la population pédiatrique réagisse aux médicaments et autres thérapies différemment des adultes. Les enfants diffèrent des adultes du point de vue anatomique et physiologique et des types de maladies dont ils souffrent ; de plus, les manifestations de ces maladies sont différentes chez les enfants et les adultes. Les enfants peuvent réagir différemment à des médicaments qui peuvent avoir un impact sur leur croissance et leur maturation et les affecter sur le plan psychosocial. Il est également possible qu'un nouveau-né réagisse différemment des nourrissons et des enfants plus âgés, et un simple ajustement de la posologie ne résout pas (toujours) le problème. Les essais cliniques pédiatriques sont donc essentiels pour garantir que les enfants reçoivent un traitement et des soins appropriés, sûrs et efficaces.

Les essais cliniques chez les enfants sont plus complexes que ceux menés chez les adultes et le nombre d'enfants éligibles aux essais est souvent faible. Les enfants doivent avoir au moins les mêmes droits que les adultes en ce qui concerne l'accès à des médicaments et des services de santé de haute qualité et fondés sur des données probantes.

Besoin d'essais cliniques pédiatriques

Les essais cliniques pédiatriques présentent de nouvelles complexités en raison des problèmes de sécurité des tests médicamenteux sur les enfants, des considérations éthiques, du consentement

éclairé, de la prévalence plus faible de la maladie, de la nécessité de tester différents groupes d'âge, de la possibilité d'effets indésirables tardifs, de l'exigence d'une conception adaptée de l'étude et de la nécessité de formulations de médicaments adaptées à l'enfant. Pour améliorer la prise en charge clinique des enfants, il faut davantage d'essais cliniques axés sur la santé des enfants dans le but de développer des traitements, des médicaments et des dispositifs spécifiques aux enfants. Des essais cliniques pédiatriques sont nécessaires pour tester l'efficacité d'un médicament s'il est destiné à traiter :

- des maladies affectant exclusivement les enfants ou présentant des symptômes et un développement différents chez les enfants ;
- des maladies survenant chez les adultes et les enfants pour lesquelles il n'existe actuellement aucun traitement ;
- des maladies survenant chez les adultes et les enfants pour lesquelles des traitements existent, mais avec des connaissances insuffisantes quant à leur efficacité ou toxicité chez les enfants.

Essais multinationaux non commerciaux

Les essais cliniques réalisés à l'initiative d'un promoteur commercial sont responsables du développement de nouveaux médicaments capables de traiter différents domaines pathologiques. Il est toutefois important de noter que ces essais cliniques évaluent uniquement l'activité des médicaments choisis par une entité commerciale qui finance l'ensemble du processus. Les essais non commerciaux ou académiques permettent aux chercheurs d'affiner les indications de traitements disponibles et d'optimiser les stratégies thérapeutiques.

Cependant, les essais non commerciaux sont confrontés à un nombre croissant de défis, notamment un manque de financement, une infrastructure inadéquate pour faciliter la collaboration académique et l'absence d'une plateforme pour partager et résoudre les problèmes liés aux essais académiques.

PedCRIN : développement des capacités de prise en charge des essais cliniques pédiatriques multinationaux

L'objectif de PedCRIN est de développer les outils et capacités nécessaires pour améliorer la qualité, la sécurité, l'efficacité et les normes éthiques des essais cliniques pédiatriques multinationaux non commerciaux.

Conception du projet

Le projet PedCRIN sur quatre ans comprend cinq lots de travail :

- Coordination et mise en œuvre du projet ;
- Définition de la stratégie financière et de la structure de la gouvernance ;
- Élaboration d'outils spécifiques aux essais pédiatriques et néonataux : méthodologie d'essai, mesures de résultats (centrées sur le patient), déclaration des événements indésirables, gestion des bio-échantillons, base de données éthique et réglementaire, suivi, qualité et certification ;
- Support opérationnel pour les essais pilotes sélectionnés ;
- Communication aux communautés d'utilisateurs cibles et aux décideurs politiques et visant à autonomiser les patients et les parents.



Priorité aux patients

Les enfants et leur famille ont un rôle essentiel à jouer dans les études cliniques. Sur la base de leur expérience personnelle, ils peuvent indiquer quelles mesures de résultats sont essentielles, si les documents de consentement éclairés sont complets et quels aspects éthiques sont importants pour eux. Leur rôle dans le projet PedCRIN est donc essentiel et ils seront placés au centre des travaux de PedCRIN. Les groupes de défense des patients et les groupes consultatifs de jeunes patients (YPAG - *young people's advisory groups*) donneront leur avis sur un protocole présenté et seront consultés pour identifier le rôle des enfants, des jeunes, des parents et des soignants durant la gestion des essais pédiatriques multinationaux.

Vous trouverez de plus amples informations sur PedCRIN ici : www.ecriin.org/activities/pedcrin

ⁱ Ce projet a reçu un financement du programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne au titre de la convention de subvention n° 731046.