

# **Développement de médicaments à usage pédiatrique : Récapitulatif**

## **Introduction**

Dans les années 60, on testait l'efficacité des médicaments pour les adultes mais non pour les enfants. Les professionnels de santé n'avaient pas d'autre alternative que de prescrire aux enfants des médicaments autorisés pour les adultes « hors indication », en courant le risque qu'ils soient inefficaces ou provoquent des réactions indésirables.

Les laboratoires pharmaceutiques ne conduisaient pas les étapes de recherche et de développement nécessaires pour que les médicaments soient adaptés aux besoins de la population pédiatrique.

À l'heure actuelle dans l'UE, plus de la moitié des médicaments utilisés pour traiter les enfants sont prescrits « hors indication », c'est-à-dire qu'ils n'ont jamais été réellement étudiés dans cette population et qu'ils ne sont pas toujours utilisés pour traiter les mêmes maladies que celles pour lesquelles ils sont indiqués chez les adultes.

## **Comblent les lacunes des médicaments à usage pédiatrique**

En réponse à l'absence de médicaments autorisés suffisamment adaptés pour le traitement d'affections chez les enfants, des recommandations ont été rédigées par l'UE et les États-Unis pour :

- Encourager et faciliter le développement en temps

opportun, de médicaments à usage pédiatrique.

- Garantir que les médicaments utilisés sont soumis aux étapes de recherche et de développement éthiques appropriées.
- Garantir que les médicaments sont bien autorisés pour un usage dans la population pédiatrique.
- Améliorer les informations disponibles sur l'utilisation des médicaments chez les enfants.
- Contribuer à limiter l'utilisation « hors indication ».

Un certain nombre de questions doivent être prise en considération par le promoteur au tout début du développement d'un médicament, afin d'évaluer s'il est judicieux de développer le médicament dans la population pédiatrique. Le moment opportun pour procéder au développement de médicaments pour les enfants dépend souvent de la maladie à traiter et du besoin non satisfait. Il dépend également du caractère innovant (nouveau) ou non du médicament ou de son appartenance ou non à une classe de médicaments dont le mécanisme est déjà bien connu.

Les enfants étant un sous-groupe vulnérable, le développement de médicaments à usage pédiatrique nécessite de prendre des mesures particulières afin de les mettre à l'abri de risques injustifiés. L'optimisation de la méthodologie des essais cliniques et les questions d'éthique que posent les études pédiatriques ne sont qu'une partie des exigences à satisfaire. Il est essentiel de développer des formulations spécifiques à leur âge, afin de résoudre les problèmes tels que les difficultés à avaler des comprimés si l'on ne dispose pas d'un sirop. En outre, il peut être nécessaire de disposer de différents arômes, de plusieurs couleurs et de masquer le goût.

Grâce à la législation de l'UE et des États-Unis, il n'est plus possible de développer des médicaments sans tenir en compte des enfants, ce qui permet d'aligner beaucoup plus le développement des médicaments pédiatriques avec celui des

médicaments pour adultes. Cette évolution a conduit à un accroissement du développement de médicaments à usage pédiatrique et de plus en plus de médicaments sont en cours de développement pour les enfants.

A2-1.18.1-v1.3