

# Essais Cliniques chez l'enfant : besoins, plans d'investigation pédiatrique, spécificités

Catherine CORNU  
Présidente CPP Sud-Est II  
PDCO  
CIC de Lyon

# Le contexte : médicaments chez l'enfant

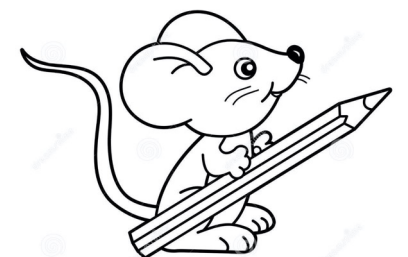
- Une **prescription hors AMM** fréquente:
  - 31 % des prescriptions (70% chez le Nouveau-né)\*
  - **Risque d'effet indésirable médicamenteux** multiplié par 4\*\*
- Effets indésirables méconnus chez l'adulte
- **Manque de médicaments** pour l'enfant en général et les maladies rares
- Différences enfants-adultes: les enfants ne sont pas de petits adultes!  
L'extrapolation simple n'est pas pertinente
  - ▶ **Il faut des études en pédiatrie !**

\*Chalumeau, Arch Disease in Child 2000, 83 (6);502-5; \*\*Impicciatore P et al.  
Br J Clin Pharmacol 2001, Menniti-Ippolito, Lancet 2000

# Particularités chez l'enfant

Nécessité d'avoir des connaissances :

1. Pour chaque classe d'âge (ICH E11):
    - Prématurés
    - Enfants nés à terme (0-27 J)
    - Bébés, petits enfants (28J- 23M)
    - Enfants (2-11 ans)
    - Adolescents (12- < 18 ans)
  2. Effets de maturation et développement / maladie
    - croissance, les fonctions motrices
    - immunité
    - fertilité, maturation sexuelle
    - développement neurocognitif et psychique (au-delà de 18 ans)
- **Etudes animales adaptées**



# Ce que dit la loi (Art L-1121-7)

- La recherche est possible chez l'enfant ssi:
  - Elle ne peut être effectuée sur des personnes majeures ET :
    - Le bénéfice escompté justifie le risque prévisible encouru ;
    - OU bénéfice escompté pour d'autres mineurs.
  - ET les risques prévisibles et les contraintes doivent présenter un caractère minimal.
    - La pertinence de l'inclusion des mineurs doit toujours être argumentée.
- Pour le CPP : Il faut une expertise pédiatrique au sein du CPP ou externe, qui fait un rapport, assiste aux réunions, et délibérations (Article R1123-14)
- Pas d'indemnité (Art L1121-11)
- Mineur décédé: consentement des titulaires de l'autorité parentale (Art L1121-14)

# Information et consentement (Article L1122-2)

- Délivrée aux titulaires de l'autorité parentale **ET AU MINEUR** d'une manière adaptée à son niveau de compréhension
- Le consentement est donné par **les titulaires** de l'autorité parentale.  
Un seul si:
  - Risques et des contraintes minimales ;
  - Pas volontaire sain ;
  - Délais d'obtention du 2<sup>ème</sup> consentement incompatible avec les exigences de la recherche
- Les enfants:
  - sont consultés
  - leur adhésion personnelle est recherchée
  - il ne peut être passé outre à leur refus ou à la révocation de leur acceptation.  
→ « **autorisation parentale** » et « **acceptation (assentiment)** de l'enfant ».
- Procédure explicite dans le protocole et approuvée par le CPP
- Si le mineur devient majeur au cours de la recherche il doit consentir personnellement

# Textes de références



Président : Jean-Michel ZUCKER  
Vice-Présidente : Hélène CHAPPLY  
Trésorière : Ouarda TAMINE  
Secrétaire : Chantal AUBERT-FOURMY

Siège social :  
Institut Curie Présidence  
26 rue d'Ulm  
75248 PARIS cedex 05



J:  
CPMP/I

**ICH Topic E 11**  
**Clinical Investigation of Medicinal Products in the Paediatric Populati**

**Reflection paper on the use of **extrapolation** in the development of medicines for pediatrics (EMA/199678/2016)**

**Guideline ICH E11 rev.1** : définit les classes d'âges, à ajuster en fonction de la maladie et de la pharmacologie du médicament

**Guideline éthique essais cliniques 2008 CE vol. prélèvements sanguins**

**Guideline on pharmaceutical development of medicines for paediatric use EMA/CHMP/QWP/805880/2012 Rev. 2**

**Recommandations  
aux Comités de Protection des Personnes  
pour l'examen d'un  
protocole de recherche concernant les mineurs**



**Questions ?**