



# Lignes directrices sur la présentation de plans de développement pédiatrique et d'études pédiatriques

Date mis en vigueur :

2024/02/26



Santé Canada est le ministère fédéral responsable d'aider les Canadiennes et les Canadiens à maintenir et à améliorer leur état de santé. Santé Canada s'est engagé à améliorer la vie de tous les Canadiens et à faire du Canada l'un des pays où les gens sont le plus en santé au monde, comme en témoignent la longévité, les habitudes de vie et l'utilisation efficace du système public de soins de santé.

Also available in English under the title:

**Guidance on submitting pediatric development plans and pediatric studies**

Pour obtenir plus d'information, veuillez communiquer avec :

Santé Canada  
Indice de l'adresse 0900C2  
Ottawa (Ontario) K1A 0K9  
Tél. : 613-957-2991  
Sans frais : 1-866-225-0709  
Télec. : 613-941-5366  
ATS : 1-800-465-7735  
Courriel : publications-publications@hc-sc.gc.ca

© Sa Majesté le Roi du Chef du Canada, représenté par le ministre de la Santé, 2024

Date de publication : mai 2024

La présente publication peut être reproduite sans autorisation pour usage personnel ou interne seulement, dans la mesure où la source est indiquée en entier.

Cat. : H164-362/2024F-PDF  
ISBN : 978-0-660-71518-6  
Pub. : 240084

# Tableau des matières

<b>APERÇU.....</b>	<b>5</b>
OBJET.....	5
CONTEXTE.....	5
PORTÉE ET APPLICATION.....	6
OBJECTIFS DE LA POLITIQUE.....	6
REMARQUE SUR LES LIGNES DIRECTRICES EN GÉNÉRAL.....	7
TRANSPARENCE.....	7
<b>MOMENT AUQUEL SOUMETTRE DES PLANS ET DES ÉTUDES.....</b>	<b>8</b>
<b>PLANS APPROUVÉS À L'ÉTRANGER.....</b>	<b>11</b>
FORMAT ET CONTENU.....	11
<i>Addenda canadien.....</i>	<i>12</i>
SITUATIONS OÙ LA DÉCISION ÉTRANGÈRE PEUT NE PASS'APPLIQUER.....	12
EXEMPTIONS POUR CERTAINES CATÉGORIES DE L'EMA.....	13
EXEMPTION POUR LES MÉDICAMENTS ORPHEINS DE LA FDA DES ÉTATS-UNIS.....	13
VÉRIFICATION D'UN PDP APPROUVÉ À L'ÉTRANGER.....	13
MODIFICATION D'UN PDP APPROUVÉ À L'ÉTRANGER.....	15
<b>PLANS CANADIENS.....</b>	<b>15</b>
FORMAT ET CONTENU.....	15
<i>Page titre.....</i>	<i>16</i>
<i>Aperçu de la maladie ou du problème de santé dans la population pédiatrique.....</i>	<i>17</i>
<i>Plan de développement pédiatrique proposé.....</i>	<i>17</i>
<i>Aperçu de l'extrapolation prévue à des populations pédiatriques particulières.....</i>	<i>18</i>
<i>Justification pour ne pas mener d'études.....</i>	<i>19</i>
<i>Justification pour ne pas mener d'études fondée sur le fait qu'un problème de santé chez l'adulte survient rarement ou jamais chez l'enfant ou bénéficie d'une exemption pour certaines catégories de l'EMA.....</i>	<i>20</i>
<i>Drogues pour le traitement des cancers chez l'adulte jugées très pertinentes pour la croissance ou la progression d'un cancer pédiatrique.....</i>	<i>21</i>
<i>Résumé tabulaire des investigations cliniques et non cliniques prévues.....</i>	<i>22</i>
<i>Élaboration d'une formulation adaptée à l'âge.....</i>	<i>25</i>
<i>Études non cliniques.....</i>	<i>25</i>
<i>Données cliniques à l'appui de la conception ou du lancement d'études auprès de patients pédiatriques.....</i>	<i>26</i>
<i>Études pédiatriques en cours et prévues.....</i>	<i>26</i>

<i>Ententes concernant des études pédiatriques avec d'autres organismes de réglementation .....</i>	<i>27</i>
EXAMEN D'UN PDP CANADIEN .....	28
MODIFICATION D'UN PDP CANADIEN ACCEPTÉ .....	29
MODÈLE DE PDP CANADIEN.....	30
<b>RAPPORTS ANNUELS.....</b>	<b>31</b>
DÉPÔT DES RAPPORTS ANNUELS .....	31
RAPPORT ANNUEL POUR LES PDP ÉTRANGERS ET CANADIENS.....	32
<b>PLANS PRÉSENTÉS AVEC LES SPDN SUBSÉQUENTS.....</b>	<b>34</b>
<b>RAPPORTS DE L'ÉTUDE .....</b>	<b>35</b>
<b>NOUS JOINDRE.....</b>	<b>35</b>

## Aperçu

### Objet

Les présentes lignes directrices décrivent la politique de présentation d'une étude pédiatrique. Elles visent à aider les promoteurs à s'assurer que leurs présentations se conforment à la politique. Le programme pilote de présentation des études pédiatriques peut servir à éclairer la politique future.

En vertu de cette politique, Santé Canada demandera aux promoteurs qui déposent une présentation de drogue nouvelle (PDN) et certains suppléments à une présentation de drogue nouvelle (SPDN) d'inclure un plan de développement pédiatrique (PDP) dans leur demande. Le PDP :

- devrait fournir des détails sur les études pédiatriques en cours et prévues
- peut également inclure une justification qui explique la raison pour laquelle la drogue ne fait pas l'objet d'études dans la totalité ou dans une partie de la population pédiatrique

La politique entrera en vigueur le 26 février 2024.

Toutes les études réalisées dans le cadre du PDP devront être présentées à Santé Canada. Ces études, ainsi que toutes les données pédiatriques présentées avec la PDN ou le SPDN d'origine, seront examinées conformément aux procédures existantes.

### Contexte

De nombreux médicaments prescrits aux enfants le sont hors indication. Les renseignements et les données tirés des essais cliniques sur des drogues menées auprès des enfants sont essentiels pour appuyer les traitements pédiatriques éclairés par des données probantes. Sans ces renseignements, les fournisseurs de soins de santé se fient à d'autres sources de données cliniques et scientifiques probantes pour évaluer si les bienfaits d'un médicament l'emportent sur les risques pour un patient donné. Santé Canada prend des mesures pour augmenter la disponibilité des données qui permettront aux fournisseurs de soins de santé de prendre ces décisions importantes.

Des organismes de réglementation internationaux, comme la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis et l'Agence européenne des médicaments (EMA), ont élaboré des outils législatifs et réglementaires pour encourager :

- l'étude de l'innocuité et de l'efficacité des drogues dans les populations pédiatriques
- la présentation des résultats de ces études aux organismes de réglementation

Afin d'accroître l'accès aux renseignements sur l'innocuité, l'efficacité et la qualité au sein des populations pédiatriques et d'assurer le respect des normes internationales, Santé Canada mène un programme pilote de la politique de présentation des études pédiatriques.

## Portée et application

Les présentes lignes directrices s'appliquent à certaines catégories de « drogues », au sens de l'article 2 de la *Loi sur les aliments et drogues* (la *Loi*), pour usage humain. Elles comprennent les produits suivants :

- Les produits pharmaceutiques
  - dont les médicaments d'ordonnance et en vente libre
- Les produits biologiques mentionnés à l'annexe D de la *Loi*
  - dont les produits biotechnologiques, les vaccins et les produits sanguins fractionnés
- Les produits pharmaceutiques radioactifs mentionnés à l'annexe C de la *Loi*

Les produits suivants ne sont pas visés par les présentes lignes directrices :

- Les désinfectants
- Les instruments médicaux
- Les produits de santé naturels
- Les médicaments biologiques biosimilaires
- Les produits pharmaceutiques génériques
  - dont les produits pharmaceutiques sur ordonnance et en vente libre, ainsi que les produits pharmaceutiques radioactifs

Les voies de présentation suivantes dépassent la portée des présentes lignes directrices :

- [Les présentations de drogue fondées sur les données de tierces parties](#)
- [Les présentations fondées sur le processus de traitement administratif](#)

Il est à noter que les produits pharmaceutiques et biologiques sont appelés « drogues » tout au long des présentes lignes directrices, à moins d'indication contraire.

Les présentes lignes directrices s'appliquent aux présentations déposées en vertu du titre 8 de la partie C du *Règlement sur les aliments et drogues* (RAD) pour :

- les PDN pour les produits pharmaceutiques et biologiques
- les SPDN pour les nouvelles indications, les nouvelles formes posologiques et les nouvelles voies d'administration des produits pharmaceutiques et biologiques

Aux fins de cette politique, les populations pédiatriques sont les personnes âgées de la naissance à moins de 18 ans.

## Objectifs de la politique

Conformément aux approches internationales, les objectifs de la politique de présentation des études pédiatriques sont les suivants :

- Encourager les promoteurs à soumettre en temps opportun des renseignements sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments dont l'utilisation dans des populations pédiatriques est attendue
- Fournir aux professionnels de la santé, aux patients et à leurs familles de plus amples renseignements sur l'innocuité, l'efficacité et la posologie des médicaments utilisés dans des populations pédiatriques

### Remarque sur les lignes directrices en général

Les lignes directrices visent à orienter l'industrie et les fournisseurs de soins de santé sur la façon de se conformer aux lois et règlements en vigueur. Elles fournissent également des conseils au personnel de Santé Canada sur la manière de réaliser des mandats et d'atteindre les objectifs fixés de façon équitable, cohérente et efficace.

Les lignes directrices sont des outils administratifs n'ayant pas force de loi. Par conséquent, elles peuvent être appliquées avec souplesse. Toutefois, pour être acceptables, les approches différant des principes et pratiques décrits dans le présent document doivent s'appuyer sur une justification adéquate. Ces autres approches devraient être examinées préalablement en consultation avec le secteur de programme concerné pour veiller à ce qu'elles respectent les exigences des lois et des règlements applicables.

Comme toujours, Santé Canada se réserve le droit de demander des renseignements ou du matériel, ou de définir des conditions qui ne sont pas expressément décrites dans le présent document, afin de nous aider à évaluer adéquatement l'innocuité, l'efficacité ou la qualité d'une drogue. Santé Canada s'engage à justifier de telles demandes et à documenter clairement ses décisions.

### Transparence

Santé Canada continuera de communiquer des renseignements à jour sur les médicaments pour usage humain. Les renseignements suivants sont disponibles en ligne :

- [Base de données des avis de conformité \(AC\)](#) : contient les AC délivrés pour les médicaments pour usage humain
- [Base de données sur les produits pharmaceutiques](#) : contient des renseignements sur l'identification numérique attribuée à une drogue (DIN) émise pour les médicaments pour usage humain, y compris la monographie du produit
- [Portail des médicaments et produits de santé](#) : contient des sommaires des décisions réglementaires et des documents de synthèse des motifs de décision, qui décrivent les raisons pour lesquelles Santé Canada approuve les médicaments d'ordonnance pour usage humain
- [Portail de renseignements cliniques](#) : contient les renseignements cliniques présentés par les promoteurs pour demander l'approbation de médicaments pour usage humain en vertu du titre 8 du RAD

## Moment auquel soumettre des plans et des études

Les études, les données et les évaluations pédiatriques sont appelées « études pédiatriques » tout au long des présentes lignes directrices, à moins d'indication contraire.

Les promoteurs doivent inclure les études dans la PDN ou dans le SPDN pour une indication chez l'adulte si :

- un plan d'étude pédiatrique a été rempli
- un dossier d'étude pédiatrique est prêt pour l'examen réglementaire

Les lignes directrices et les exigences actuelles relatives aux présentations de drogues continuent de s'appliquer telles qu'énoncées dans le *Règlement sur les aliments et drogues* (RAD). L'évaluation des études sera fondée sur l'approche établie par Santé Canada pour évaluer l'innocuité, l'efficacité et la qualité d'une drogue dans une population pédiatrique.

Pour obtenir des renseignements sur les dispositions du RAD relatives à la protection des données ou sur le *Règlement sur les médicaments brevetés (avis de conformité)*, les fabricants sont invités à consulter les lignes directrices suivantes :

- [La protection des données en vertu de l'article C.08.004.1 du Règlement sur les aliments et drogues](#)
- [Règlement sur les médicaments brevetés \(avis de conformité\)](#)

La présentation d'études pédiatriques accompagnées d'une PDN ou d'un SPDN ne constituera pas une participation au programme pilote, car celui-ci continuera à suivre le processus établi.

Si les études pédiatriques ne sont pas terminées au moment du dépôt de la PDN ou du SPDN, les promoteurs qui souhaitent participer au programme pilote doivent inclure un plan de développement pédiatrique (PDP) dans leur présentation. Santé Canada recevra une notification de votre intention de fournir les études à une date ultérieure.

Les PDP décrivent la recherche et le développement qu'un promoteur a l'intention d'entreprendre afin de produire des renseignements qui pourraient appuyer l'utilisation autorisée d'une drogue dans une population pédiatrique. Les plans peuvent comprendre l'élaboration :

- d'une formulation pédiatrique
- d'une prolongation pédiatrique d'une indication existante
- d'une nouvelle indication pédiatrique fondée sur l'ingrédient actif de la drogue

Pour participer au programme pilote, les études pédiatriques ou le PDP doivent aborder :

- les indications existantes et proposées

- les nouvelles formes posologiques (le cas échéant)
- les nouvelles voies d'administration (le cas échéant)

Les promoteurs peuvent également choisir d'élaborer des indications propres à la population pédiatrique en fonction de l'ingrédient actif de la drogue. Pour obtenir de plus amples renseignements, veuillez consulter les informations sur le format et le contenu dans la section Plans canadiens de ce document.

Pour en savoir plus sur la présentation d'un PDP, veuillez consulter les sections suivantes de ce document :

- Plans approuvés par une autorité étrangère
- Plans de développement pédiatrique canadiens

Lorsque les investigations concernant la drogue ne sont pas appropriées ou pratiques, dans la totalité ou dans une partie de la population pédiatrique, les promoteurs qui souhaitent participer au programme pilote doivent inclure une justification dans le PDP.

Cette justification doit :

- préciser la raison pour laquelle les études ne seront pas entreprises
- contenir le type de renseignements inclus dans une demande de dérogation à la FDA des États-Unis ou à l'EMA.

Pour en savoir plus, veuillez consulter la section suivante de ce document:

- Justification pour ne pas mener d'études

Les promoteurs peuvent soumettre 1 des 2 types de PDP à Santé Canada :

#### 1. PDP étrangers :

- Cela peut comprendre un plan initial d'étude pédiatrique (iPSP) de la FDA des États-Unis accepté, ou un plan d'investigation pédiatrique de l'EMA approuvé (UE-PIP)
  - [Directive sur la façon de remplir un iPSP de la FDA des États-Unis](#) (en anglais seulement)
  - [Directive sur la façon de remplir un PIP de l'EMA](#) (PDF, en anglais seulement)
- Il est possible d'ajouter un addenda canadien facultatif à un plan étranger approuvé à la discrétion du promoteur s'il existe un contexte canadien propre supplémentaire ou de nouveaux renseignements pertinents à prendre en considération pour le Canada
- Santé Canada accepte seulement les plans d'investigation pédiatrique de la FDA des États-Unis ou de l'EMA dans le cadre du programme pilote, pas ceux d'autres organismes de réglementation

#### 2. PDP propres au Canada :

- Il est possible de préparer et d'inclure un PDP propre au Canada (PDP-C) si aucun plan étranger approprié n'est disponible auprès de la FDA des États-Unis ou de l'EMA

Les promoteurs peuvent demander une réunion préalable au dépôt de la présentation pour discuter de tous les aspects de leur présentation, notamment des PDP. Santé Canada peut vous conseiller sur :

- l'approche la plus appropriée à adopter pour soumettre des études pédiatriques ou des PDP
- les circonstances uniques qui ne sont pas directement abordées dans les présentes lignes directrices

Santé Canada encourage les promoteurs présentant toutes demandes de PDN et de SPDN dans le cadre des présentes lignes directrices à participer au programme pilote de politique. Pour toute la durée du programme pilote, nous demanderons à tous les promoteurs qui présentent une PDN ou un SPDN de répondre à un court sondage au moment du dépôt, à des fins de collecte de données. Ce sondage incitera les promoteurs à participer au programme pilote si leurs présentations sont admissibles.

Les promoteurs qui décident de ne pas participer seront invités à en expliquer les raisons. La décision de ne pas participer au programme pilote et les raisons invoquées n'auront aucune incidence sur notre examen de sa PDN ou de son SPDN.

Lors du dépôt de la présentation de la drogue, les promoteurs doivent préciser dans la note à l'intention de l'examineur s'ils incluent des études pédiatriques ou un plan de développement pédiatrique.

Les documents doivent être présentés dans le format Electronic Common Technical Document (eCTD) comme suit :

Type de document	Module eCTD	Titre leaf du document eCTD
Sondage	1.0.7 Note générale à l'examineur	Sondage
PDP acceptés/approuvés à l'étranger	1.2.7 Renseignements internationaux	iPSP de la FDA ou PIP de l'EMA
PDP propre au Canada	1.0.7 Note générale à l'examineur	PDP propre au Canada
Addenda canadien au PDP	1.0.7 Note générale à l'examineur	Addenda canadien au PDP

Toutes les études de qualité, non cliniques ou cliniques à l'appui doivent être présentées dans leurs modules eCTD respectifs et être organisées conformément aux spécifications électroniques actuelles de la ligne directrice suivante :

- [Préparation des activités de réglementation en format Electronic Common Technical Document \(eCTD\)](#)

Pour en savoir plus sur la façon de déposer les présentations par voie électronique :

- [Dépôt des soumissions par voie électronique](#)

Pour obtenir des renseignements sur la réunion préalable au dépôt de la présentation, le processus d'examen préliminaire, les demandes de clarification, le dépôt d'une présentation ainsi que les délais et les normes de rendement, veuillez consulter :

- [Gestion des présentations et des demandes de drogues](#)

## Plans approuvés à l'étranger

### Format et contenu

La FDA des États-Unis et l'EMA exigent toutes les 2 la présentation de plans détaillés pour les programmes d'investigation de drogues pédiatriques pendant le programme d'investigation de drogues pour adultes. La FDA des États-Unis exige un iPSP et l'EMA exige un UE-PIP.

Les 2 organismes auront généralement conclu des ententes avec le promoteur sur ces plans au moment où une présentation sera déposée auprès de Santé Canada pour la même drogue.

Les promoteurs qui souhaitent participer au programme pilote peuvent présenter l'un des documents suivants :

- un UE-PIP approuvé
- un iPSP accepté en attente d'une décision finale de la FDA des États-Unis sur les demandes de report ou de dérogation
- un iPSP accepté après la décision finale de la FDA des États-Unis d'approuver ou de refuser les demandes de report ou de dérogation au moment de la demande de mise en marché

Les promoteurs doivent inclure la version approuvée ou acceptée la plus récente du plan. Les promoteurs qui ont un iPSP et un UE-PIP peuvent choisir le plan qu'ils soumettront en vue de participer au programme pilote.

Santé Canada acceptera le plan soumis comme PDP.

Les promoteurs qui présentent un iPSP approuvé pour lequel la décision finale de la FDA des États-Unis sur les demandes de report ou de dérogation est en attente doivent

communiquer avec Santé Canada pour connaître la façon de soumettre la décision finale. Si l'examen de Santé Canada est terminé avant que la FDA des États-Unis ou l'EMA ne rende sa décision finale, les promoteurs doivent consulter la section Modification d'un PDP approuvé à l'étranger. Cette section fournit des renseignements sur la manière de présenter la mise à jour.

Les produits qui présentent plus de 1 indication peuvent avoir plus de 1 iPSP ou UE-PIP. Pour ces produits, les promoteurs peuvent choisir des plans de la FDA des États-Unis et de l'EMA pour le PDP, le cas échéant. Par exemple, les promoteurs peuvent choisir un plan de la FDA des États-Unis pour l'indication A et un plan de l'EMA pour l'indication B.

Des renseignements sur la façon dont les plans pédiatriques seront examinés se trouvent à la section Vérification d'un PDP approuvé à l'étranger.

#### Addenda canadien

Les promoteurs peuvent choisir de remplir une annexe supplémentaire (addenda canadien) s'ils disposent de renseignements supplémentaires qui pourraient aider à clarifier certains aspects de leur plan étranger. Cet addenda peut comprendre les détails suivants :

- Les communications entre les promoteurs et les organismes de réglementation étrangers, à l'exclusion des renseignements commerciaux confidentiels tels que définis dans la *Loi sur les aliments et drogues*, qui apportent des précisions sur la justification de tout aspect du plan qui pourrait ne pas être clair pour Santé Canada sans ce contexte
- Les considérations particulières à prendre en compte concernant des facteurs propres à la population canadienne (par exemple, des facteurs génétiques ou extrinsèques)
- Les renseignements qui reflètent les indications autorisées au Canada pour les drogues dont l'indication autorisée au Canada diffère de celle de la FDA des États-Unis ou de l'EMA
- Les différences pertinentes entre les traitements autorisés et commercialisés pour le problème de santé au Canada et ceux dans le territoire pour lequel le plan a été élaboré
- Les autres renseignements que le promoteur juge pertinents dans le contexte canadien

Les renseignements doivent être présentés sous la forme d'un addenda canadien unique.

#### Situations où la décision étrangère peut ne pas s'appliquer

Dans certains cas, la décision prise à l'étranger pourrait ne pas être conforme à la politique de Santé Canada sur la présentation d'études pédiatriques. Il s'agit notamment des exemptions pour certaines catégories de l'EMA et de l'exemption pour les médicaments orphelins de la FDA des États-Unis.

## Exemptions pour certaines catégories de l'EMA

Santé Canada ne suivra pas le même processus que celui qui est utilisé pour les exemptions pour certaines catégories (*class waivers*, en anglais seulement) de l'EMA. Les promoteurs qui ne disposent pas d'un PIP ou d'un iPSP doivent suivre la procédure décrite dans la section suivante :

- Justification pour ne pas mener d'études fondée sur le fait qu'un problème de santé chez l'adulte survient rarement ou jamais chez l'enfant ou bénéficie d'une exemption pour certaines catégories de l'EMA

## Exemption pour les médicaments orphelins de la FDA des États-Unis

La FDA des États-Unis exempte les médicaments classés comme orphelins des exigences de l'iPSP. Santé Canada n'utilisera pas l'exemption pour les médicaments orphelins de la FDA des États-Unis.

Les promoteurs participant au programme pilote qui ne disposent pas d'iPSP parce que leur produit est classé comme médicament orphelin aux États-Unis devront :

- soumettre un UE-PIP approuvé, s'ils en ont un
- **ou** suivre la procédure de présentation d'un PDP propre au Canada (PDP-C) pour décrire les études en cours ou proposées
- ou fournir une justification qui explique la raison pour laquelle la drogue ne fait pas l'objet d'études dans la totalité ou une partie de la population pédiatrique

## Vérification d'un PDP approuvé à l'étranger

Santé Canada acceptera les iPSP approuvés par la FDA des États-Unis ou les PIP approuvés par l'EMA comme PDP pour le programme pilote. Les directives relatives au contenu des plans pédiatriques sont harmonisées entre les 3 organismes de réglementation.

La vérification d'un plan pédiatrique approuvé à l'étranger consistera à confirmer que l'iPSP ou le PIP est complet et conforme au contenu recommandé du PDP-C. Au cours de la vérification, Santé Canada peut demander des précisions sur certaines parties des plans. Une fois que Santé Canada aura vérifié que le plan approuvé à l'étranger est conforme aux recommandations relatives au contenu du PDP-C, il sera désigné comme le PDP sans que des changements y soient apportés.

La période de vérification des iPSP et des UE-PIP commence après la délivrance de la lettre d'acceptation à la suite de l'examen préliminaire pour la présentation par Santé Canada. Nous vérifierons l'information dans les plans pédiatriques étrangers parallèlement avec l'examen effectué pour le reste de la présentation.

La vérification sera effectuée conformément aux normes de rendement de la présentation qui visent les plans pédiatriques. Par exemple, si un promoteur inclut un ou plusieurs plans pédiatriques avec une présentation de drogue nouvelle (PDN) associée à un délai d'examen de 300 jours, la vérification de ces plans aura lieu dans

les délais établis pour la présentation. La vérification du PDP approuvé à l'étranger n'influencera pas l'examen de la présentation, y compris les délais.

Si le ou les plans pédiatriques étrangers ne répondent pas aux recommandations relatives au contenu du PDP-C, Santé Canada en informera le promoteur. Celui-ci peut choisir de se retirer du programme pilote ou de présenter un PDP-C à la place du plan étranger. Le retrait du programme pilote n'aura aucune incidence sur la décision d'examen relative à la PDN ou au supplément à une présentation de drogue nouvelle (SPDN) connexe.

Santé Canada fournira le résultat de la vérification du plan pédiatrique étranger au moment de rendre sa décision finale concernant l'examen, dans une lettre qui sera délivrée en même temps que l'avis de conformité (AC). Cette lettre précisera les délais dans lesquels les rapports d'études pédiatriques achevées devraient être soumises à Santé Canada.

Nous demandons que toutes les études du PDP soient présentées dans les 6 mois suivant l'achèvement de l'étude finale, à moins que le promoteur et Santé Canada n'en conviennent autrement.

Si :

- la décision concernant la présentation est négative, aucune décision ne sera prise au sujet du plan pédiatrique étranger
- un médicament dont la vente est autorisée au Canada est annulé avant ou après sa mise en marché, on ne s'attendra pas à ce que l'étude mentionnée dans le PDP pour ce médicament soit achevée

L'adoption par Santé Canada d'un iPSP ou d'un UE-PIP approuvé en tant que PDP canadien :

- ne témoigne pas d'un accord futur avec la décision de la FDA des États-Unis ou de l'EMA d'approuver la modification de l'indication, de la formulation ou de l'étiquetage pédiatriques
  - Nous effectuerons un examen indépendant en fonction du contexte canadien et du cadre réglementaire
- ne constitue pas une approbation des essais cliniques décrits dans le PDP
  - Les promoteurs doivent demander l'approbation des essais cliniques auprès des autorités où les essais ont lieu

Dans le cas des essais cliniques au Canada, les promoteurs devraient communiquer avec le bureau des essais cliniques pertinent et suivre les lignes directrices énoncées dans le document suivant :

- [Ligne directrice à l'intention des promoteurs d'essais cliniques : Demandes d'essais cliniques](#)

## Modification d'un PDP approuvé à l'étranger

Santé Canada demande aux promoteurs de l'informer de toutes les modifications une fois qu'elles ont été approuvées par la FDA des États-Unis ou l'EMA. Si un iPSP ou un UE-PIP approuvé est modifié par la suite en collaboration avec l'organisme de réglementation étranger, la modification approuvée peut être présentée à Santé Canada dans le même format que celui dans lequel elle a été présentée à la FDA des États-Unis ou à l'EMA.

Les modifications doivent être déposées au moyen du Portail commun de demandes électroniques (PCDE) dans le cadre de l'activité de réglementation Plan de développement pédiatrique – Modifications (PDPAM) dans le format eCTD comme suit :

Type de document	Module eCTD	Titre leaf du document eCTD
PDP modifiés/approuvés à l'étranger	1.2.7 Renseignements internationaux	iPSP annoté par la FDA iPSP non annoté par la FDA ou PIP annoté par l'EMA PIP non annoté par l'EMA

Toutes les études de qualité, non cliniques ou cliniques à l'appui doivent être à la fois :

- présentées dans leurs modules eCTD respectifs
- organisées conformément aux spécifications électroniques actuelles de la ligne directrice suivante :
  - [Préparation des activités de réglementation en format Electronic Common Technical Document \(eCTD\)](#)

Pour en savoir plus sur la façon de déposer les présentations par voie électronique, veuillez consulter :

- [Dépôt des soumissions par voie électronique](#)

Les modifications seront assujetties à une période de traitement de 10 jours civils, à une période d'examen préliminaire de 15 jours civils et à une norme de service en matière de vérification de 90 jours civils.

Santé Canada indiquera dans une lettre le résultat de la vérification des modifications et tout nouveau délai de présentation.

## Plans canadiens

### Format et contenu

Les promoteurs qui ne disposent pas d'un iPSP ou d'un UE-PIP peuvent participer au programme pilote de politique en incluant un PDP-C avec des présentations qui s'inscrivent dans la portée des présentes lignes directrices.

Les PDP-C feront l'objet d'un examen scientifique afin de déterminer si le plan proposé est adéquat pour étudier l'efficacité, l'innocuité et la qualité de la drogue dans une ou plusieurs populations pédiatriques. Pour être accepté dans le cadre du programme pilote, le plan doit respecter les critères énoncés dans les présentes lignes directrices. Un modèle de PDP-C est inclus à la fin de cette page.

Les promoteurs sont encouragés à tenir compte des besoins de toutes les populations pédiatriques, y compris les nouveau-nés, dans la mesure du possible, lorsqu'ils élaborent leur PDP-C. Ils peuvent également proposer d'étudier les avantages thérapeutiques potentiels de l'ingrédient actif de la drogue dans la population pédiatrique concernée pour des indications qui vont au-delà de celles qui complètent les indications existantes et proposées chez l'adulte.

Toutes les sources de données doivent s'appuyer sur les références incluses dans la présentation. Les citations peuvent comprendre des références qui figurent dans d'autres modules de présentation.

Les promoteurs sont encouragés à examiner les lignes directrices applicables publiées par l'International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (ICH). Les organismes de réglementation étrangers publient également des lignes directrices pertinentes qui peuvent vous aider à élaborer vos plans pédiatriques, notamment :

- [S11 : Tests non cliniques sur l'innocuité à l'appui du développement de produits pharmaceutiques pédiatriques](#) (PDF, en anglais seulement)
- [E11 : Addenda à la ligne directrice E11 de l'ICH : Investigation clinique des médicaments dans la population pédiatrique](#) (PDF, en anglais seulement)
- [Plans d'étude pédiatrique : Contenu et processus de présentation des plans initiaux d'étude pédiatrique et des plans initiaux d'étude pédiatrique modifiés](#) (Food and Drug Administration [FDA] des États-Unis, en anglais seulement)
- [Plans d'investigation pédiatrique](#) (Agence européenne des médicaments [EMA], en anglais seulement)

Les présentations pour des drogues associées à plus de 1 indication peuvent aborder toutes les indications dans 1 seul plan pédiatrique ou dans des plans pédiatriques distincts.

#### Page titre

Les promoteurs doivent inclure les renseignements suivants au sujet de la drogue dans la page titre du PDP :

- Marque de la drogue
- Nom propre ou usuel de la drogue
- Forme posologique
- Classification et code thérapeutique, diagnostique ou pharmacologique
  - conformément au système de classification anatomique, thérapeutique et chimique (ATC) de l'Organisation mondiale de la Santé

- Indication approuvée (le cas échéant)
- Indication proposée
- Éléments clés du plan proposé :
  - Groupes d'âge pour lesquels une justification pour ne pas mener d'études est fournie
  - Groupes d'âge pour lesquels des études seront entreprises
  - Identification des types d'études
- Numéros de contrôle de toute présentation antérieure (y compris les modifications) pour cette drogue, pertinente pour ce PDP-C

#### Aperçu de la maladie ou du problème de santé dans la population pédiatrique

Cette section devrait résumer brièvement les renseignements disponibles sur les éléments suivants :

- La pathophysiologie de la maladie ou du problème de santé
- L'incidence et la prévalence chez les populations adulte et pédiatrique
  - inclure des renseignements sur des sous-groupes d'âge précis, le cas échéant
- La méthode de diagnostic chez les populations adulte et pédiatrique
- L'analyse des données probantes disponibles à l'appui des similitudes et des différences entre la maladie ou le problème de santé chez les populations adulte et pédiatrique, au besoin
- Les traitements ou les stratégies de prévention actuellement disponibles dans la population pédiatrique

Les promoteurs peuvent faire un renvoi au module 2 de la PDN ou du SPDN, le cas échéant.

#### Plan de développement pédiatrique proposé

Conformément à la section **Portée et application** des présentes lignes directrices, le PDP-C devrait aborder les points suivants :

- Les indications existantes et proposées chez l'adulte
- Les nouvelles formes posologiques (le cas échéant)
- Les nouvelles voies d'administration (le cas échéant)

Lorsque les investigations concernant la drogue ne sont pas appropriées ou pratiques dans la totalité ou dans une partie de la population pédiatrique, on demande aux promoteurs qui souhaitent participer au programme pilote d'inclure une justification dans le PDP-C.

Cette justification devrait :

- préciser la raison pour laquelle les études ne seront pas entreprises
- contenir le type de renseignements inclus dans une demande de dérogation à la FDA des États-Unis ou à l'EMA

Pour en savoir plus sur les justifications, veuillez consulter les sections suivantes :

- Justification pour ne pas mener d'études
- Justification pour ne pas mener d'études fondée sur le fait qu'un problème de santé chez l'adulte survient rarement ou jamais chez l'enfant ou bénéficie d'une exemption pour certaines catégories de l'EMA

Un PDP-C est fondé sur les connaissances concernant la drogue et la maladie ou le problème de santé au moment de la présentation de la PDN ou du SPDN à Santé Canada. Au cours de la mise en œuvre du plan, des données supplémentaires pourraient devenir disponibles et avoir une incidence sur certains aspects du PDP-C. Les promoteurs peuvent soumettre des modifications à un PDP-C accepté conformément au processus décrit dans la section sur la modification d'un PDP canadien accepté.

#### Aperçu de l'extrapolation prévue à des populations pédiatriques particulières

Il peut être approprié d'extrapoler l'efficacité d'une drogue si l'évolution de la maladie ou du problème de santé et la réponse attendue au produit entre les populations pédiatrique et adulte sont semblables. Dans certains cas, il peut également être approprié de procéder à une extrapolation d'un groupe d'âge pédiatrique à un autre.

Le PDP-C devrait fournir des précisions sur toute extrapolation prévue de l'efficacité du produit proposé.

Les promoteurs devraient également justifier le recours à l'extrapolation. Cette justification doit comprendre :

- des renseignements sur les similarités et les différences entre la maladie chez les adultes et les enfants, ou entre un groupe d'âge pédiatrique et un autre, qui appuieraient l'extrapolation
  - par exemple, la pathogenèse de la maladie, la progression de la maladie, les caractéristiques de la maladie
- des données justificatives provenant de toutes les sources disponibles
  - par exemple, les données générées par les promoteurs, la documentation publiée, les groupes ou les ateliers d'experts

On pourrait envisager l'extrapolation de l'efficacité pour d'autres drogues de la même catégorie si elle a déjà été acceptée par Santé Canada, la FDA des États-Unis ou l'EMA.

Le cas échéant, le promoteur doit également discuter :

- de la similarité des relations efficacité-exposition-réponse entre les populations adulte et pédiatrique
  - en fonction de l'expérience avec des drogues de la même catégorie ou d'autres drogues approuvées pour la même maladie ou le même trouble
- de l'utilisation d'études de modélisation et de simulation pour appuyer l'extrapolation

Dans certains cas, il peut être possible d'utiliser les renseignements existants sur l'innocuité et la posologie chez les adultes ou d'autres populations pédiatriques pour tirer des conclusions sur l'innocuité de la drogue chez les populations pédiatriques.

Les promoteurs qui proposent d'utiliser l'extrapolation comme outil pour appuyer les inférences sur l'innocuité doivent clairement :

- donner des précisions sur la façon dont les connaissances disponibles sur les problèmes d'innocuité connus ou potentiels dans la population de référence s'appliquent à la population cible
- justifier l'utilisation d'extrapolations en matière d'innocuité à partir de chaque source disponible
- cerner les lacunes potentielles et veiller à ce qu'elles soient comblées ailleurs dans le PDP-C, notamment au moyen d'études cliniques

Justification pour ne pas mener d'études

Les promoteurs doivent fournir une justification à Santé Canada lorsqu'il existe une raison de ne pas mener d'études dans la totalité ou une partie de la population pédiatrique.

Cette justification doit comprendre :

- un résumé des données justificatives pour chaque groupe d'âge pour lequel il n'y aura pas d'études
- des renseignements à l'appui provenant de toutes les sources disponibles, notamment :
  - les données provenant d'évaluations non cliniques de l'innocuité, les résultats d'essais cliniques chez les populations adultes, la documentation publiée et d'autres données probantes pertinentes
  - des exemptions complètes ou partielles accordées antérieurement à d'autres drogues de la même catégorie par Santé Canada, la FDA des États-Unis ou l'EMA

Conformément aux normes de la FDA des États-Unis et de l'EMA pour les demandes d'exemption concernant les études pédiatriques, cette justification devrait indiquer que les études ne seront pas menées pour l'une ou l'autre des raisons suivantes :

- Les études nécessaires sont impossibles ou très difficilement réalisables :
  - la justification peut être fondée sur l'incidence ou la prévalence du problème de santé dans l'ensemble de la population pédiatrique ou une partie de celle-ci
- Les données probantes suggèrent fortement que la drogue serait inefficace ou dangereuse pour les populations pédiatriques concernées
  - la justification peut être fondée sur une justification pharmaceutique ou sur des données (préliminaires) indiquant un manque d'efficacité ou d'innocuité dans la population pédiatrique
  - la justification peut être fondée sur un manque d'efficacité dans la population pédiatrique dans son ensemble ou dans des sous-ensembles,

où une justification peut être fournie pour appliquer un manque d'efficacité dans un sous-ensemble de la population pédiatrique à l'ensemble de la population pédiatrique

- La drogue ne représente pas un avantage thérapeutique important par rapport aux traitements existants pour les patients pédiatriques
  - la justification devrait être fondée sur une analyse détaillée des méthodes de traitement autorisées et commercialisées existantes
- Justifications liées au fait de ne pas entreprendre l'élaboration de formulations pédiatriques pour des groupes d'âge précis
  - la justification devrait être fondée sur la preuve par le demandeur que des tentatives raisonnables de produire la formulation pédiatrique requise ont échoué ou ne sont pas réalisables

Les promoteurs qui fournissent une justification pour ne pas mener d'études pédiatriques doivent remplir uniquement les sections suivantes (numérotation selon le modèle du PDP-C) :

- Page titre
- 1 Aperçu de la maladie ou du problème de santé dans la population pédiatrique
- 2.2 Justification pour ne pas mener d'études
- 3 Ententes concernant des études pédiatriques avec d'autres organismes de réglementation (le cas échéant)

Lorsque la justification pour ne pas mener d'études se fonde sur le fait qu'une drogue est inefficace ou dangereuse pour les populations pédiatriques, il peut être nécessaire de l'indiquer sur l'étiquetage du produit. Les mentions d'étiquetage appropriées seront déterminées en fonction des données présentées et en collaboration avec Santé Canada.

Justification pour ne pas mener d'études fondée sur le fait qu'un problème de santé chez l'adulte survient rarement ou jamais chez l'enfant ou bénéficie d'une exemption pour certaines catégories de l'EMA

Un PDP-C abrégé est demandé aux promoteurs qui ne sont pas en mesure d'entreprendre des études sur une partie quelconque de la population pédiatrique, car le problème de santé figure sur la :

- Liste de la FDA des États-Unis des problèmes de santé liés aux adultes admissibles à une exemption parce qu'elles se produisent rarement ou jamais en pédiatrie (PDF, en anglais seulement)
- Liste des exemptions pour certaines catégories de l'EMA (en anglais seulement)

Dans ces circonstances, les promoteurs doivent inclure ce qui suit dans leur PDP-C :

- Page titre
- 2.2 Justification pour ne pas mener d'études
  - Indiquer le problème de santé répertorié dans la liste de la FDA des États-Unis ou de l'EMA que le produit vise à traiter

- Si possible, inclure une demande approuvée par l'EMA pour la confirmation de l'applicabilité de la décision de l'Agence pour les catégories d'exemptions
- Inclure un énoncé indiquant que le promoteur n'est pas en mesure d'entreprendre des études pédiatriques

Drogues pour le traitement des cancers chez l'adulte jugées très pertinentes pour la croissance ou la progression d'un cancer pédiatrique

Une drogue contre le cancer chez l'adulte peut être très pertinente pour le traitement d'un cancer pédiatrique différent. Dans le cas de ces produits, il pourrait être insuffisant de présenter une justification pour ne pas mener d'études au seul motif que le problème de santé ne survient pas dans les populations pédiatriques.

Pour mettre au point des PDP-C pour ces types de drogues, les promoteurs sont invités à examiner :

- [Commentaire commun – EMA/FDA : Questions communes faisant l'objet d'une demande de discussion concernant les plans de développement en oncologie pédiatrique](#) (PDF, en anglais seulement)

Pour les drogues à ciblage moléculaire contre le cancer, les promoteurs sont invités à examiner les lignes directrices de la FDA des États-Unis sur les [études pédiatriques de drogues à ciblage moléculaire pour le traitement des cancers](#) (PDF, en anglais seulement).

La FDA des États-Unis publie également 2 listes régulièrement mises à jour pour appuyer le développement pédiatrique de drogues à ciblage moléculaire pour le traitement des cancers :

- [Cibles moléculaires très pertinentes pour la croissance et la progression des cancers pédiatriques](#) (PDF, en anglais seulement)
  - On demande aux promoteurs de drogues pour ces cibles moléculaires :
    - de soumettre un PDP-C décrivant le programme de développement prévu
    - d'expliquer dans la section 2 du PDP-C si les études ne sont pas possibles pour les raisons indiquées à la section Justification pour ne pas mener d'études
- [Cibles moléculaires non pertinentes qui seront automatiquement prises en considération pour une exemption](#) (Excel, en anglais seulement)
  - Le PDP-C de ces drogues ne devrait comprendre que les éléments suivants :
    - Page titre
    - 2.2 Justification pour ne pas mener d'études
      - Identifier la cible moléculaire
      - Inclure un énoncé indiquant que le promoteur fournit une justification pour ne pas mener d'études pédiatriques
  - Ce PDP-C ne doit pas dépasser 1 page

## Résumé tabulaire des investigations cliniques et non cliniques prévues

Le résumé doit être présenté sous forme de tableau qui :

- énumère chaque étude distincte incluse dans le PDP-C proposé, ainsi que l'état actuel de chaque étude
- présente les études suivant l'ordre dans lequel elles seront abordées dans leurs sections respectives du PDP-C
- inclut tout groupe d'âge pour lequel le promoteur fournira une justification pour ne pas mener d'études

Le tableau suivant constitue un exemple du format recommandé pour le tableau récapitulatif. Les promoteurs peuvent utiliser des raccourcis pour décrire les études proposées, à condition qu'ils donnent une note explicative à la fin du tableau (par exemple, R = randomisé, CP = contrôlé par placebo).

Tableau 1 : Format recommandé pour le tableau récapitulatif des études (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

<b>Espèce/âge/numéro d'étude (si connu) Énumérer tous les groupes, y compris ceux pour lesquels une justification pour ne pas mener d'études a été fournie</b>	<b>Type d'étude (Si elle est connue, inclure la durée de la posologie ou du traitement)</b>	<b>Commentaires (Peut comprendre le but ou l'objectif de l'étude)</b>	<b>État de l'étude et date de début/d'achèvement prévue (MM/AAAA)</b>
<b>Études non cliniques</b>			
Rat Environ 35 jours après la naissance No d'étude : ABC123	Intervalle de doses thérapeutiques pour déterminer la toxicologie juvénile 3 semaines	Étude soumise avec la demande de PDN	Terminée
<b>Études cliniques</b>			
<b>Études pédiatriques pharmacocinétique (PC) ou pharmacocinétique (PC)/pharmacodynamique (PD)</b>			

Tableau 1 : Format recommandé pour le tableau récapitulatif des études (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

Espèce/âge/numéro d'étude (si connu) Énumérer tous les groupes, y compris ceux pour lesquels une justification pour ne pas mener d'études a été fournie	Type d'étude (Si elle est connue, inclure la durée de la posologie ou du traitement)	Commentaires (Peut comprendre le but ou l'objectif de l'étude)	État de l'étude et date de début/d'achèvement prévue (MM/AAAA)
2 ans à moins de 12 ans	Étude ouverte à dose unique pour évaluer l'innocuité, la tolérabilité et la PC	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les résultats serviront à établir la dose de départ dans l'étude de confirmation de l'innocuité et de l'efficacité</li> <li>• Les résultats serviront à extrapoler la PC de la population existante à la population pédiatrique</li> </ul>	Début prévu : 06/2025 Fin prévue : 04/2026
<b>Évaluation clinique de l'innocuité et de l'efficacité</b>			
0 an à moins de 2 ans	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Justification pour ne pas mener d'études incluse dans le PDP-C</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les études sont très difficiles à réaliser en raison des difficultés d'inscription prévues</li> </ul>	S.O.

Tableau 1 : Format recommandé pour le tableau récapitulatif des études (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

Espèce/âge/numéro d'étude (si connu) Énumérer tous les groupes, y compris ceux pour lesquels une justification pour ne pas mener d'études a été fournie	Type d'étude (Si elle est connue, inclure la durée de la posologie ou du traitement)	Commentaires (Peut comprendre le but ou l'objectif de l'étude)	État de l'étude et date de début/d'achèvement prévue (MM/AAAA)
2 ans à moins de 12 ans	<ul style="list-style-type: none"> <li>Étude randomisée, en double aveugle et contrôlée par placebo pour étudier l'efficacité et l'innocuité</li> <li>Durée du traitement à déterminer</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Évaluation de l'innocuité et de l'efficacité</li> <li>Paramètres de sécurité : événements indésirables, examens physiques, essais de sécurité en laboratoire</li> <li>Paramètres d'efficacité : questionnaire sur la qualité de vie, essais fonctionnels, essais en laboratoire pour les paramètres pertinents</li> </ul>	Inscription non commencée Début prévu : 12/2026 Fin prévue : 03/2029
12 ans à moins de 18 ans No d'étude : XYZ123	<ul style="list-style-type: none"> <li>Essai ouvert multicentrique à 1 seul groupe pour évaluer l'efficacité et</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Étude soumise avec la</li> </ul>	Terminée

Tableau 1 : Format recommandé pour le tableau récapitulatif des études (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

Espèce/âge/numéro d'étude (si connu) Énumérer tous les groupes, y compris ceux pour lesquels une justification pour ne pas mener d'études a été fournie	Type d'étude (Si elle est connue, inclure la durée de la posologie ou du traitement)	Commentaires (Peut comprendre le but ou l'objectif de l'étude)	État de l'étude et date de début/d'achèvement prévue (MM/AAAA)
	l'innocuité de la posologie pour la population adolescente <ul style="list-style-type: none"> <li>• Durée du traitement : 6 à 12 mois</li> </ul>	demande de PDN	
Date cible pour la présentation à Santé Canada			10/2029
S.O. : sans objet PC : pharmacocinétique			

#### Élaboration d'une formulation adaptée à l'âge

Si la formulation actuelle de la drogue ne convient pas à tous les groupes d'âge pédiatrique, les promoteurs doivent expliquer la façon dont une formulation adaptée à l'âge sera élaborée pour les groupes d'âge pertinents.

Dans cette section, les promoteurs devront fournir des renseignements sur :

- la forme pharmaceutique proposée
  - par exemple, liquide, gélules, comprimés, onguent
- la voie d'administration
- la force
- la formulation
- la pertinence de la formulation
  - par exemple, l'analyse de ses excipients et les études en cours sur l'élaboration de la formulation

#### Études non cliniques

Dans cette section, les promoteurs doivent :

- fournir un bref résumé des études non cliniques terminées, en cours et prévues qui appuient l'utilisation de la drogue dans les groupes d'âge pédiatrique proposés
- inclure des données probantes tirées de ces études qui appuient la dose maximale et la durée du traitement à utiliser dans les études cliniques prévues (le cas échéant)

Si d'autres études non cliniques **ne sont pas nécessaires**, le promoteur doit fournir une justification claire de cette conclusion.

Si d'autres études non cliniques **sont nécessaires** avant le début des essais cliniques proposés, les promoteurs doivent fournir une brève description de l'étude. Cette description devrait comprendre, au minimum :

- le type d'étude
- les objectifs de l'étude
- les espèces étudiées
- l'âge des animaux au début de l'administration des doses
- la durée de la posologie
- la voie d'administration

Données cliniques à l'appui de la conception ou du lancement d'études auprès de patients pédiatriques

Dans cette section, les promoteurs doivent :

- fournir un aperçu concis de toutes les données cliniques existantes qui ont été utilisées pour appuyer la conception ou le lancement d'études pédiatriques
  - inclure les résultats des études cliniques des drogues effectuées à l'appui d'autres indications (le cas échéant)
- inclure les données probantes tirées des études qui appuient les doses et la durée du traitement à utiliser dans les études cliniques

Études pédiatriques en cours et prévues

*Études pédiatriques pharmacocinétiques ou pharmacocinétiques/ pharmacodynamiques*

Dans cette section, les promoteurs doivent :

- inclure une description de chacune des études pédiatriques pharmacocinétiques (PC)/pharmacodynamiques (PD) en cours et prévues incluses dans le résumé tabulaire des études
  - suivre l'ordre où elles figurent dans le tableau récapitulatif des études
- aborder les aspects de conception suivants pour chaque étude :
  - Le type d'étude
  - La conception et les mesures de contrôle de l'étude
  - Les objectifs de l'étude

- Le groupe d'âge et la population dans laquelle l'étude sera menée
- Les formulations pédiatriques qui seront utilisées dans l'étude
- Les intervalles de dose à utiliser dans les études PC
- Les paramètres et une justification (paramètres PC, biomarqueurs PD)
- La modélisation et la simulation existantes ou prévues pour appuyer le choix des doses ou la conception de l'étude, l'analyse et l'interprétation des données pour les études pédiatriques prévues, notamment toute extrapolation prévue
- Les analyses pharmacogénomiques prévues
- Une justification de la taille de l'échantillon

Des examens PC spécialisés peuvent ne pas être nécessaires pour chaque groupe d'âge dans un PDP-C. Dans certains cas, il peut être approprié pour un promoteur de recourir à d'autres études, comme une mise à l'échelle des doses appropriée à partir d'une posologie adulte ou des études de confirmation de la PC de la population au lieu d'une étude PC spécialisée. Les promoteurs doivent justifier de façon claire et concise le plan d'étude d'extrapolation.

### *Études cliniques sur l'efficacité et l'innocuité*

Dans cette section, les promoteurs doivent :

- fournir un aperçu de chaque étude clinique sur l'efficacité et l'innocuité en cours et prévue incluse dans le résumé tabulaire
  - suivre l'ordre où elles figurent dans le tableau
- aborder les aspects de conception suivants pour chaque étude :
  - Le type et la conception de l'étude
  - Les objectifs de l'étude
  - Le groupe d'âge et la population dans laquelle l'étude sera menée
  - Les principaux critères d'inclusion et d'exclusion
  - Les principaux paramètres d'efficacité primaire et secondaire
  - Le moment des évaluations des paramètres
  - Les évaluations de l'innocuité (y compris le moment et la durée du suivi)
  - L'approche statistique
  - La modélisation et la simulation à utiliser pour optimiser la conception d'études pédiatriques prévues, le cas échéant

Un plan d'analyse statistique détaillé n'est pas nécessaire pour le PDP.

Ententes concernant des études pédiatriques avec d'autres organismes de réglementation

Les promoteurs qui disposent d'un plan de développement pédiatrique étranger accepté par une autorité autre que la FDA des États-Unis et l'EMA doivent inclure un bref résumé du plan dans cette section. Cela aidera Santé Canada à harmoniser le PDP-C avec les plans pédiatriques d'autres autorités (dans la mesure du possible).

Les promoteurs doivent intégrer les éléments suivants :

- Une copie de la version la plus récente acceptée ou approuvée du plan étranger
- Une copie de la version la plus récente du nouveau plan ou un bref résumé des modifications apportées à un plan existant (si des négociations sont en cours pour un plan nouveau ou existant)
- Toute différence entre le PDP-C proposé et le plan pédiatrique étranger

### Examen d'un PDP canadien

Santé Canada examine tous les PDP-C, consulte les experts en la matière appropriés et rend des décisions sur tous les PDP-C.

La conclusion d'une entente sur un PDP-C représente un processus de collaboration qui peut nécessiter des discussions entre Santé Canada et le promoteur. Nous pouvons :

- communiquer avec le promoteur si, au cours de notre examen, nous avons des questions au sujet du plan pédiatrique
- demander une réunion pour discuter des éléments du plan afin de parvenir à une entente

Toutes les communications concernant les plans pédiatriques devraient être adéquatement documentées par les intervenants et Santé Canada. Les processus de documentation des communications, y compris le dépôt de toute information sollicitée et non sollicitée pendant l'examen d'un plan pédiatrique, sont les mêmes que ceux pour les présentations de drogues.

Pour en savoir plus, veuillez consulter la ligne directrice suivante :

- [Gestion des présentations et des demandes de drogues](#)

La période d'examen des PDP-C commence après la délivrance de la lettre d'acceptation de l'examen préliminaire. Santé Canada effectuera l'examen du plan pédiatrique en concomitance avec l'examen préalable à la commercialisation. La norme de service d'examen du PDP-C est la même que la norme de service de la présentation qui comprenait le plan pédiatrique.

Si le promoteur et Santé Canada ne parviennent pas à s'entendre sur le contenu du PDP-C, le promoteur peut se retirer du programme pilote. Ce retrait n'aura aucune incidence sur notre décision d'examen pour la PDN ou le SPDN connexe.

Santé Canada fournira le résultat de l'évaluation dans une lettre qui sera envoyée en même temps que l'avis de conformité (AC). Cette lettre précisera les délais dans lesquels les rapports d'études complétées devraient être soumis à notre intention. Tous les rapports d'études mentionnés dans le PDP-C doivent être présentés dans les 6 mois suivant l'achèvement de l'étude finale, à moins que le promoteur et Santé Canada n'en conviennent autrement.

Si :

- la décision concernant la présentation est négative, aucune décision ne sera prise au sujet du PDP-C
- un médicament dont la vente est autorisée au Canada est annulé avant ou après sa mise en marché; on ne s'attendra plus à ce que les études dans le PDP-C pour ce médicament soient achevées

L'accord de Santé Canada à l'égard d'un PDP-C ne témoigne pas d'une décision positive future concernant des études pédiatriques soumises à la suite du PDP-C dans le but d'obtenir l'approbation de la modification d'une indication, d'une formulation ou de l'étiquetage pour la population pédiatrique. Nous effectuerons un examen complet et indépendant de toutes les études incluses dans les présentations de drogues subséquentes en fonction du PDP-C.

De même, l'accord concernant un PDP-C ne constitue pas l'approbation des essais cliniques décrits dans le PDP-C. Il incombe aux promoteurs de demander l'approbation des essais cliniques, comme l'exigent les autorités où les essais ont lieu.

Dans le cas des essais cliniques au Canada, les promoteurs devraient communiquer avec le bureau des essais cliniques pertinent, conformément au document suivant :

- [Ligne directrice à l'intention des promoteurs d'essais cliniques : Demandes d'essais cliniques](#)

### Modification d'un PDP canadien accepté

Il peut arriver au cours d'une enquête qu'un changement à un PDP-C soit nécessaire après que Santé Canada l'a accepté. Dans ce cas, les promoteurs peuvent demander une modification du plan.

Voici des exemples de telles situations :

- Retards importants dans l'achèvement de l'étude
  - par exemple, plus de 1 an
- Changements apportés aux justifications pour ne pas mener d'études
- Modifications des types d'études menées

Tous les autres changements apportés à un PDP-C qui dépassent la portée d'une modification doivent être inclus dans le rapport annuel.

Les promoteurs peuvent demander une modification à un PDP accepté en tout temps. Les modifications proposées au PDP-C devraient être communiquées le plus tôt possible afin de permettre leur examen.

Les modifications doivent être déposées au moyen du PCDE dans le cadre de l'activité de réglementation Plan de développement pédiatrique – Modifications (PDPAM) dans le format eCTD comme suit :

Type de document	Module eCTD	Titre leaf du document eCTD
PDP propre au Canada modifié	1.0.7 Note générale à l'examinateur	PDP-C annoté PDP-C non annoté

Toutes les études de qualité, non cliniques ou cliniques à l'appui doivent être présentées dans leurs modules eCTD respectifs et être organisées conformément aux spécifications électroniques actuelles de la ligne directrice suivante :

- [Préparation des activités de réglementation en format Electronic Common Technical Document \(eCTD\)](#)

Pour en savoir plus sur la façon de déposer les présentations par voie électronique, veuillez consulter :

- [Dépôt des soumissions par voie électronique](#)

Une demande de modification devrait inclure les renseignements suivants :

- Une note à l'intention de l'examinateur, indiquant les changements demandés et la justification
  - inclure la documentation à l'appui de la demande (le cas échéant)
- Une version en suivi des modifications (annotée) du PDP-C accepté dans Word
- Une version épurée (non annotée) du PDP-C modifié proposé dans Word

Les modifications seront assujetties à une période de traitement de 10 jours civils, à une période d'examen préliminaire de 15 jours civils et à une norme de service d'examen de 90 jours civils.

Les modifications apportées à un PDP-C ne seront pas considérées comme acceptées tant que Santé Canada n'aura pas avisé le promoteur qu'il a accepté les modifications.

### Modèle de PDP canadien

Pour obtenir des conseils sur les renseignements à inclure dans chaque section, veuillez consulter la section Format et contenu.

- Page titre
- 1. Aperçu de la maladie ou du problème de santé dans la population pédiatrique
- 2. Plan de développement pédiatrique proposé
  - 2.1 Aperçu de l'extrapolation prévue à des populations pédiatriques particulières
  - 2.2 Justification pour ne pas mener d'études
  - 2.3 Résumé tabulaire des investigations cliniques et non cliniques prévues
  - 2.4 Élaboration d'une formulation adaptée à l'âge
  - 2.5 Études non cliniques

- 2.6 Données cliniques à l'appui de la conception ou du lancement d'études auprès de patients pédiatriques
- 2.7 Études pédiatriques en cours et prévues
  - 2.7.1 Études pédiatriques pharmacocinétiques ou pharmacocinétiques/pharmacodynamiques
  - 2.7.2 Études cliniques sur l'efficacité et l'innocuité
- 3. Ententes concernant des études pédiatriques avec d'autres organismes de réglementation

## Rapports annuels

### Dépôt des rapports annuels

Pour nous aider à effectuer le suivi de la progression des plans pédiatriques dans le cadre du programme pilote, nous demandons aux promoteurs de tenir Santé Canada au courant de l'état d'avancement des études indiquées dans leurs PDP ou dans leurs PDP-C. Les promoteurs sont invités à le faire en soumettant un rapport annuel. Les rapports annuels ne devraient pas contenir de données générées pendant l'intervalle de déclaration.

Tous les rapports annuels doivent être déposés au moyen du PCDE dans le cadre de l'activité de réglementation Plan de développement pédiatrique – Rapport annuel (PDPAR) dans le format eCTD comme suit :

Type de document	Module eCTD	Titre leaf du document eCTD
Rapport annuel sur le PDP approuvé à l'étranger	1.0.7 Note générale à l'examineur	Rapport annuel sur le PDP [date]
Rapport annuel sur le PDP-C	1.0.7 Note générale à l'examineur	Rapport annuel sur le PDP-C [date]

Pour en savoir plus sur la façon de déposer des présentations par voie électronique, veuillez consulter :

- [Préparation des activités de réglementation en format Electronic Common Technical Document \(eCTD\)](#)
- [Dépôt des soumissions par voie électronique](#)

Les promoteurs doivent soumettre 1 seul rapport annuel pour tous les PDP et PDP-C ouverts à la date anniversaire de l'AC concernant une drogue donnée à laquelle le premier plan pédiatrique a été joint.

Par exemple :

- Une présentation de drogue nouvelle comprenait un PDP, et un AC pour la présentation a été délivré le 15 janvier 2022
- Un SPDN déposé plus tard pour le même produit comprenait un autre PDP. L'AC a été délivré pour le SPDN le 23 octobre 2024

Dans cet exemple, les promoteurs fourniraient les rapports annuels des 2 PDP ensemble, sous forme de document unique, au plus tard à la date anniversaire du 15 janvier.

Toute modification à un PDP mentionné dans un rapport annuel sera notée par Santé Canada. Aucune lettre d'approbation ne sera émise.

Les modifications importantes apportées aux plans pédiatriques doivent être présentées dans le cadre du processus de modification des plans pédiatriques. Pour en savoir plus, veuillez consulter les sections suivantes de ce document :

- Modification d'un PDP approuvé à l'étranger
- Modification d'un PDP canadien accepté

### Rapport annuel pour les PDP étrangers et canadiens

Les rapports annuels pour les PDP approuvés à l'étranger et les PDP-C acceptés devraient comprendre :

- une note à l'examineur contenant :
  - la liste de tous les plans actuels pour la drogue
  - la date d'achèvement prévue du plan et la date de présentation subséquente de l'étude pour chaque plan actuel
    - mettre à jour la date d'achèvement prévue du plan et la date de présentation subséquente de l'étude en fonction des modifications apportées aux dates de l'étude dans le rapport annuel
    - présenter les retards de plus de 1 an sous forme de modification
- un rapport annuel, contenant :
  - de brefs résumés des modifications apportées à chaque plan depuis le dernier rapport annuel
  - un renvoi à toute modification approuvée
  - une mention qui indique si Santé Canada examine actuellement des modifications
  - les autres modifications qui n'étaient pas admissibles à une présentation de modification particulière
  - un aperçu de l'état de chacune des études non cliniques et cliniques prévues détaillées dans le plan
    - présenter l'aperçu sous la forme d'un résumé tabulaire à jour des investigations cliniques et non cliniques prévues

Les promoteurs devraient utiliser un format semblable à celui du tableau 2 lors de la préparation des rapports annuels.

Tableau 2. Format recommandé pour les rapports annuels (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

Section (Inclure la section de l'iPSP/du PDP et le numéro d'étude, si disponible)	Modification et justification (le cas échéant) (Inclure un bref résumé de la modification et une brève justification de la nécessité de la modification)	Date d'achèvement (Inclure la date d'achèvement prévue en fonction du plan accepté, de la modification acceptée ou du rapport annuel précédent) (Inclure une date d'achèvement révisée, le cas échéant)	État de l'étude (Inclure un bref état d'avancement indiquant si l'étude n'est pas encore commencée, si elle est en cours [détails facultatifs quant à l'étape] ou si elle est terminée)
Études non cliniques Étude ABC	S.O.	04/2022	Étude terminée
Demande d'exemption relative à une drogue et Études cliniques pédiatriques prévues	Ajout d'une exemption pour la catégorie des 0 à 2 ans Étude clinique de phase II chez des patients âgés de 0 à 2 ans retirée Formulation adaptée à l'âge impossible Ce changement a également été présenté sous forme de modification (inclure la référence de la modification, s'il y a lieu)	S.O.	S.O.
Études cliniques pédiatriques prévues Étude XYZ	Le nombre d'inscriptions est passé de 150 à 100, les chiffres révisés par groupe d'âge étant les	Date d'achèvement prévue : 02/2023 Date d'achèvement	En cours

Tableau 2. Format recommandé pour les rapports annuels (les entrées sont fournies à titre d'exemple uniquement)

Section (Inclure la section de l'iPSP/du PDP et le numéro d'étude, si disponible)	Modification et justification (le cas échéant) (Inclure un bref résumé de la modification et une brève justification de la nécessité de la modification)	Date d'achèvement (Inclure la date d'achèvement prévue en fonction du plan accepté, de la modification acceptée ou du rapport annuel précédent) (Inclure une date d'achèvement révisée, le cas échéant)	État de l'étude (Inclure un bref état d'avancement indiquant si l'étude n'est pas encore commencée, si elle est en cours [détails facultatifs quant à l'étape] ou si elle est terminée)
	suivants : 12 à 17 ans – 50 patients 6 à 11 ans – 40 patients 3 à 5 ans – 10 patients Il n'a pas été possible d'atteindre l'objectif d'inscription (inclure une explication de 2 ou 3 lignes)	révisée : 06/2023	
S.O. : sans objet			

## Plans présentés avec les SPDN subséquents

Les produits qui disposent déjà d'un PDP ou PDP-C peuvent faire l'objet d'un dépôt de SPDN subséquent. De tels suppléments peuvent nécessiter des mises à jour du PDP ou PDP-C existant ou l'ajout de PDP ou PDP-C au dossier de la drogue.

Si le plan existant convient au SPDN proposé, le promoteur peut informer Santé Canada qu'aucune mise à jour du plan n'est nécessaire dans la note à l'examineur.

Si un plan existant peut être mis à jour pour tenir compte des modifications proposées dans le SPDN, le promoteur peut modifier le plan existant et l'inclure dans le SPDN.

Si les modifications demandées dans le SPDN nécessitent un plan différent, alors le promoteur peut présenter un nouveau plan. Ce nouveau plan sera ajouté au dossier de la drogue, avec le ou les PDP ou PDP-C existants.

Au moment de fournir un plan mis à jour ou de déposer un nouveau plan, le promoteur doit suivre les procédures de dépôt des plans pédiatriques applicables décrites dans les présentes directives.

Santé Canada évaluera le PDP mis à jour ou le nouveau PDP ou PDP-C selon les procédures pour un PDP approuvé à l'étranger ou un PDP-C accepté (le cas échéant).

Les promoteurs doivent soumettre 1 seul rapport annuel pour tous les PDP ouverts à la date anniversaire de l'avis de conformité concernant la présentation contenant le premier plan pédiatrique.

Pour en savoir plus, veuillez consulter la page sur les [rapports annuels](#) des présentes lignes directrices.

## Rapports de l'étude

Conformément aux examens réglementaires des données pédiatriques menés dans d'autres administrations, on demande aux promoteurs de soumettre leurs études pédiatriques conformément aux délais indiqués dans la lettre délivrée en même temps que l'AC. Si les délais ont été modifiés au moyen de dépôts subséquents, Santé Canada demande aux promoteurs de soumettre leurs rapports d'études pédiatriques complétées conformément aux délais indiqués dans leur plus récent rapport annuel.

Les promoteurs qui présentent des rapports finaux doivent déposer un SPDN nouvelle conformément aux procédures décrites dans la ligne directrice suivante :

- [Gestion des présentations et des demandes de drogues](#)

## Nous joindre

Pour toute question sur **ces lignes directrices**, veuillez communiquer avec la :

- Direction des médicaments biologiques et radiopharmaceutiques (DMBR)  
Centre de la politique, de la pédiatrie et de la collaboration internationale  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Courriel : [brdd-cppic\\_brdd-cppci@hc-sc.gc.ca](mailto:brdd-cppic_brdd-cppci@hc-sc.gc.ca)

Pour toute question sur la **soumission de documents**, veuillez communiquer avec la :

- Direction de la gestion des ressources et des opérations (DGRO)  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Bureau des présentations et de la propriété intellectuelle  
Courriel : [ereview@hc-sc.gc.ca](mailto:ereview@hc-sc.gc.ca)

Veillez envoyer **toutes autres questions** à la direction appropriée de Santé Canada :

- Direction des médicaments biologiques et radiopharmaceutiques (DMBR)  
Bureau des affaires réglementaires  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Courriel : [brdd.ora@hc-sc.gc.ca](mailto:brdd.ora@hc-sc.gc.ca)
- Direction des médicaments pharmaceutiques (DMP)  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Courriel : [pharma\\_drug\\_enquiries-renseignements\\_medicaments\\_pharma@hc-sc.gc.ca](mailto:pharma_drug_enquiries-renseignements_medicaments_pharma@hc-sc.gc.ca)
- Direction des produits de santé naturels et sans ordonnance (DPSNSO)  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Courriel : [nnhpd.consultation-dpsnso@hc-sc.gc.ca](mailto:nnhpd.consultation-dpsnso@hc-sc.gc.ca)
- Direction des produits de santé commercialisés (DPSC)  
Direction générale des produits de santé et des aliments  
Santé Canada  
Courriel : [mhpd-dpsc@hc-sc.gc.ca](mailto:mhpd-dpsc@hc-sc.gc.ca)