

La traduction de cette page a été générée par traduction automatique [Lien]. Les traductions automatiques peuvent comporter des erreurs susceptibles de nuire à la clarté et à l'exactitude; le Médiateur décline toute responsabilité en cas de divergences. Pour obtenir les informations les plus fiables et pour assurer la sécurité juridique, veuillez consulter la version source en anglais dont le lien figure ci-dessus. Pour en savoir plus, veuillez consulter notre [politique linguistique et de traduction](#) [Lien].

Décision dans l'affaire 222/2020/EWM concernant la manière dont l'Agence européenne des médicaments a traité l'autorisation du médicament Kalydeco destiné aux enfants atteints d'une forme particulière de mucoviscidose

Décision

Affaire 222/2020/EWM - Ouvert le 21/02/2020 - Décision le 03/06/2020 - Institution concernée Agence européenne des médicaments (Pas d'acte de mauvaise administration constaté) |

L'affaire concernait la manière dont l'Agence européenne des médicaments (EMA) avait traité la demande d'autorisation d'un médicament appelé Kalydeco. Kalydeco est utilisé pour le traitement de la mucoviscidose, maladie grave causée par divers types de mutations génétiques.

Le plaignant, dont le fils âgé de trois ans est atteint d'une forme particulière de mucoviscidose, s'inquiétait des retards pris par l'EMA pour autoriser ce médicament destiné à être utilisé chez les enfants présentant cette forme spécifique de mucoviscidose.

Lors de l'enquête, le 20 avril 2020, l'EMA a avisé le plaignant et la Médiatrice que, après examen de l'ensemble des preuves scientifiques et médicales nécessaires, ses experts scientifiques avaient autorisé l'utilisation de Kalydeco chez les enfants présentant la forme de mucoviscidose dont est atteint l'enfant du plaignant.

La Médiatrice a constaté qu'il ne s'était pas produit de retard injustifié. L'EMA a également fait preuve de clarté et de transparence, ainsi que d'une grande attention, dans ses contacts avec le plaignant.

La Médiatrice a conclu à l'absence de mauvaise administration de la part de l'EMA et a clôturé l'enquête.



Contexte de la plainte

1. Le fils de trois ans du plaignant souffre de fibrose kystique, une maladie génétique grave qui affecte les poumons, le système digestif et d'autres organes. Diverses mutations génétiques peuvent causer la fibrose kystique. Le fils du plaignant a une mutation du gène R117H.

2. Le plaignant estime qu'un médicament, Ivacaftor (nom commercial Kalydeco), peut être utilisé pour traiter son fils. Une intervention précoce avec Kalydeco permettra, espère-t-il, de prévenir les dommages aux organes associés à la fibrose kystique, permettant ainsi à son fils de vivre une vie plus longue, plus saine et plus productive.

3. En juillet 2012, l'Agence européenne des médicaments (EMA) a approuvé l'utilisation de Kalydeco pour le traitement de la fibrose kystique causée par **certaines** mutations génétiques [1] [Lien]. En 2015, il a été approuvé pour une utilisation **chez les adultes** atteints de fibrose kystique causée par une mutation R117H. Cela signifiait que la seule façon pour des enfants tels que le fils du plaignant d'avoir accès à Kalydeco était l'utilisation hors étiquette [2] [Lien] ou dans le cadre d'un essai clinique [3] [Lien].

4. Le plaignant a contacté l'EMA en décembre 2018 pour l'exhorter à approuver l'utilisation de Kalydeco pour les enfants atteints de la mutation R117H. Dans sa correspondance, il a exprimé ses craintes que l'EMA ait subi des retards dans l'autorisation de l'utilisation de Kalydeco pour les enfants atteints de cette mutation.

5. L'EMA et le plaignant ont échangé de la correspondance entre décembre 2018 et septembre 2019. L'EMA a informé le plaignant que pour que l'utilisation de Kalydeco soit autorisée chez les enfants, la société commercialisant Kalydeco, Vertex, devait demander à l'EMA une prolongation de l'autorisation de mise sur le marché. Une telle demande d'extension devrait inclure des preuves (par exemple issues d'essais cliniques appropriés) qui montreraient que l'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de cette mutation génétique était sûre et efficace. L'EMA a déclaré qu'elle n'avait reçu aucune demande visant à obtenir l'autorisation d'utiliser Kalydeco chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H.

6. L'EMA a également informé le plaignant de différentes manières de traiter son fils avec Kalydeco, à savoir par une utilisation hors étiquette ou dans le cadre d'un essai clinique.

7. En août 2019, l'EMA a informé le plaignant qu'elle avait demandé à Vertex d'envoyer à l'EMA toutes les données nouvellement obtenues que Vertex avait sur l'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de la mutation R117H. Elle a assuré au plaignant qu'une fois les données reçues, dans le cadre d'une demande de prolongation de l'autorisation de mise sur le marché, elle les évaluerait le plus rapidement possible.

8. En octobre 2019, Vertex a présenté à l'EMA une demande de prolongation de l'approbation



de l'utilisation du médicament chez les enfants atteints de mutation génique.

9. Le 4 février 2020, le plaignant s'est adressé au Médiateur européen.

L'enquête

10. Le Médiateur a ouvert une enquête sur les retards allégués par l'EMA dans l'approbation de l'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H.

11. Au cours de l'enquête, le 3 mars 2020, l'équipe d'enquête du Médiateur a tenu une réunion avec des représentants de l'EMA [4] .

Arguments présentés au Médiateur

12. Le plaignant a déclaré que, à moins que son fils ne puisse utiliser Kalydeco, il pourrait devoir subir une double transplantation pulmonaire et son espérance de vie sera gravement affectée. Il a déclaré que l'EMA avait retardé l'approbation de l'utilisation de Kalydeco pour les enfants souffrant de fibrose kystique causée par la mutation du gène R117H, malgré le fait qu'il y avait des preuves que Kalydeco travaille pour ces enfants. Il a exprimé ses craintes qu'il faudra encore 2 à 3 ans avant que son fils puisse avoir accès à Kalydeco. En attendant, son fils peut subir des effets irréversibles et graves sur sa santé.

L'évaluation du Médiateur

13. Il n'appartient pas au Médiateur de remettre en cause le bien-fondé des évaluations scientifiques effectuées par des agences scientifiques spécialisées. L'enquête du Médiateur ne couvre donc pas l'évaluation médicale et scientifique de fond de la sécurité et de l'efficacité de Kalydeco. En outre, il est essentiel que les organismes scientifiques soient autorisés à mener leurs travaux en toute sérénité, à l'abri de pressions extérieures indues. Cela est d'autant plus important en ce qui concerne l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité des médicaments.

14. L'objectif de cette enquête était de clarifier l'état d'avancement de l'évaluation par l'EMA de l'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H, de veiller à ce qu'aucun retard administratif inutile ne se soit produit et de veiller à ce que l'EMA tienne le plaignant aussi informé que possible de l'état d'avancement des évaluations de l'EMA.

15. L'EMA ne peut autoriser ou prolonger l'autorisation d'un médicament sans avoir reçu de la société pharmaceutique une demande d'autorisation ou de prolongation de l'autorisation. Avant octobre 2019, Vertex n'avait pas soumis à l'EMA une demande d'extension de l'autorisation de Kalydeco pour couvrir l'utilisation chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H.

16. Vertex a présenté sa demande de prolongation de l'autorisation de Kalydeco pour couvrir



l'utilisation chez les enfants à la fin du mois d'octobre 2019.

17. Une fois la demande reçue, l'EMA a transféré la demande à son comité des médicaments à usage humain (CHMP), qui est le comité de l'EMA chargé d'évaluer la sécurité et l'efficacité des médicaments à usage humain.

18. Le CHMP a **commencé son évaluation de la demande le 2 novembre 2019** .

19. L'Ombudsman conclut qu'aucun retard n'a été enregistré au début du processus d'évaluation.

20. L'EMA a ensuite informé Vertex que le CHMP suivrait un calendrier accéléré de 90 jours pour l'évaluation de la demande, comme le prévoit la législation pertinente [\[5\] \[Lien\]](#).

21. La législation pertinente permet à l'EMA de prolonger ce délai si elle a besoin d'informations supplémentaires pour mener à bien son évaluation [\[6\] \[Lien\]](#).

22. L'EMA a expliqué au Médiateur que le CHMP demande régulièrement des données supplémentaires ou des informations sur l'interprétation des données.

23. En l'espèce, le CHMP a demandé à Vertex des informations complémentaires le 30 janvier 2020. L'évaluation a donc été placée dans un «clock-stop» par défaut.

24. Cet arrêt d'horloge a donné à Vertex la possibilité de fournir au CHMP les informations demandées. Cela a permis à l'EMA de conclure son évaluation. Le 30 avril 2020, [\[7\] \[Lien\]](#), le CHMP a recommandé de proroger l'autorisation d'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H [\[8\] \[Lien\]](#).

25. Le CHMP a donc achevé son évaluation six mois après le dépôt de sa demande par Vertex.

26. Bien que l'EMA ne puisse autoriser ou proroger l'autorisation d'un médicament sans avoir reçu une demande de la société pharmaceutique, le Médiateur note que l'EMA, afin de rendre plus efficace l'évaluation éventuelle du CHMP, a tenu une réunion préalable avec Vertex en avril 2019 au cours de laquelle elle a discuté de la disponibilité de données supplémentaires à l'appui de l'utilisation de Kalydeco chez les enfants atteints de mutation R117H et de la question de savoir si ces données pouvaient être soumises dans le cadre d'une demande d'extension de l'indication.

27. Compte tenu de tout ce qui précède, le Médiateur constate qu'aucun retard administratif injustifié n'a eu lieu.

28. Le Médiateur estime que l'EMA correspondait clairement, de manière transparente et avec le plus grand soin au plaignant.

29. L'EMA a fourni à la plaignante des informations considérables sur l'état d'avancement de



ses discussions avec Vertex. Il a également informé le plaignant des moyens permettant à son enfant d'avoir accès à Kalydeco (par exemple, au moyen d'une utilisation hors étiquette ou d'un essai clinique). Elle a reconnu la situation difficile de son fils, mais a également cherché à s'assurer qu'elle ne créait pas d'attentes irréalistes avant que le CHMP ne soit parvenu à sa décision sur la sécurité et l'efficacité de Kalydeco pour une utilisation chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H.

30. Le Médiateur se félicite également de la rapidité et de la rigueur avec lesquelles l'EMA a répondu tout au long de l'enquête, en fournissant des informations complètes sur le processus d'approbation et les antécédents [9] .

31. Le Médiateur note que le soir du 30 avril 2020, le jour où le CHMP a approuvé l'utilisation de Kalydeco pour une utilisation chez les enfants atteints de la mutation du gène R117H, l'EMA a pris l'initiative de contacter le plaignant par courrier électronique pour l'informer de cette nouvelle.

32. Le plaignant a contacté l'Ombudsman peu après pour exprimer son soulagement et son bonheur avec la nouvelle.

33. Le Médiateur ne constate pas de mauvaise administration en ce qui concerne la manière dont l'EMA a communiqué avec le plaignant.

Conclusion

Sur la base de l'enquête, le Médiateur clôt cette affaire avec la conclusion suivante:

Il n'y a pas eu de mauvaise administration par l'Agence européenne des médicaments.

Le plaignant et l'Agence européenne des médicaments seront informés de cette décision .

Emily O'Reilly

Médiateur européen

Strasbourg, le 03/06/2020

[1] [Lien] Voir

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kalydeco-epar-product-information_en.pdf

[Lien]



[2] [Lien] L'utilisation hors étiquette désigne la pratique consistant à prescrire un médicament qui a été approuvé pour au moins une indication, un groupe d'âge, une posologie ou une voie d'administration, pour une utilisation autre que l'indication approuvée, le groupe d'âge, la posologie ou la voie d'administration. L'utilisation hors étiquette est généralement légale, à moins qu'elle ne viole les directives éthiques ou les règlements de sécurité.

[3] [Lien] Kalydeco a été approuvé pour le traitement des enfants atteints de fibrose kystique causée par neuf mutations génétiques spécifiques. Le fils du plaignant a une mutation différente.

[4] [Lien]<https://www.ombudsman.europa.eu/en/report/en/127891> [Lien]. À la lumière de l'évolution de la crise de la COVID-19, la réunion s'est déroulée virtuellement.

[5] [Lien] À cet égard, voir: Article 16, paragraphe 2, deuxième alinéa, du règlement (CE) no 1234/2008 de la Commission, en liaison avec l'annexe V.

[6] [Lien] Au jour 90, le CHMP adoptera l'avis sur la demande de modification de type II ou émettra une demande d'informations supplémentaires; à cet égard, voir: L'article 16, paragraphe 3, du règlement (CE) no 1234/2008 de la Commission dispose que «dans le délai visé au paragraphe 2, l'Agence peut demander au titulaire de fournir des informations supplémentaires dans un délai fixé par l'Agence. La procédure est suspendue jusqu'à ce que les informations complémentaires aient été fournies. Dans ce cas, l'Agence peut prolonger le délai visé au paragraphe 2».

[7] [Lien] Pour de plus amples informations, veuillez vous reporter au rapport de la réunion du 3 mars 2020.

[8] [Lien]<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/kalydeco-0> [Lien].

[9] [Lien] Voir à cet égard le rapport détaillé de la réunion du 3 mars 2020: <https://www.ombudsman.europa.eu/en/report/en/127891> [Lien].