

PEDSTART

le réseau national de recherche clinique à l'Inserm



Mercredi 14/06/2023

PEDSTART&FCRIN- EUROPE&C4C-ORPHANDEV-EXEMPLES



Réseau des CICs Pédiatriques

1992



2007



1997

Réseau des CIC
Pédiatriques

2018

PEDSTART(FCRIN)
CONNECT4CHILDREN

CIC



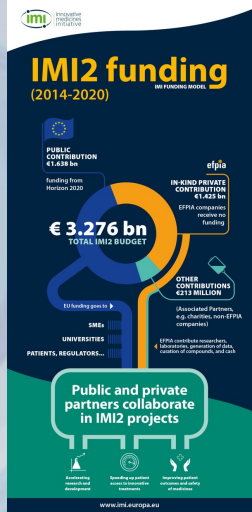
FCRIN (French Clin. Res. Infrastructure Network)



ECRIN (European Clin. Res. Infrastructure Network)



c4c : un projet de 150 M€



- Established
- Under negotiation

10 EFPIA Ind.

19 Réseaux

260 ped. hosp.

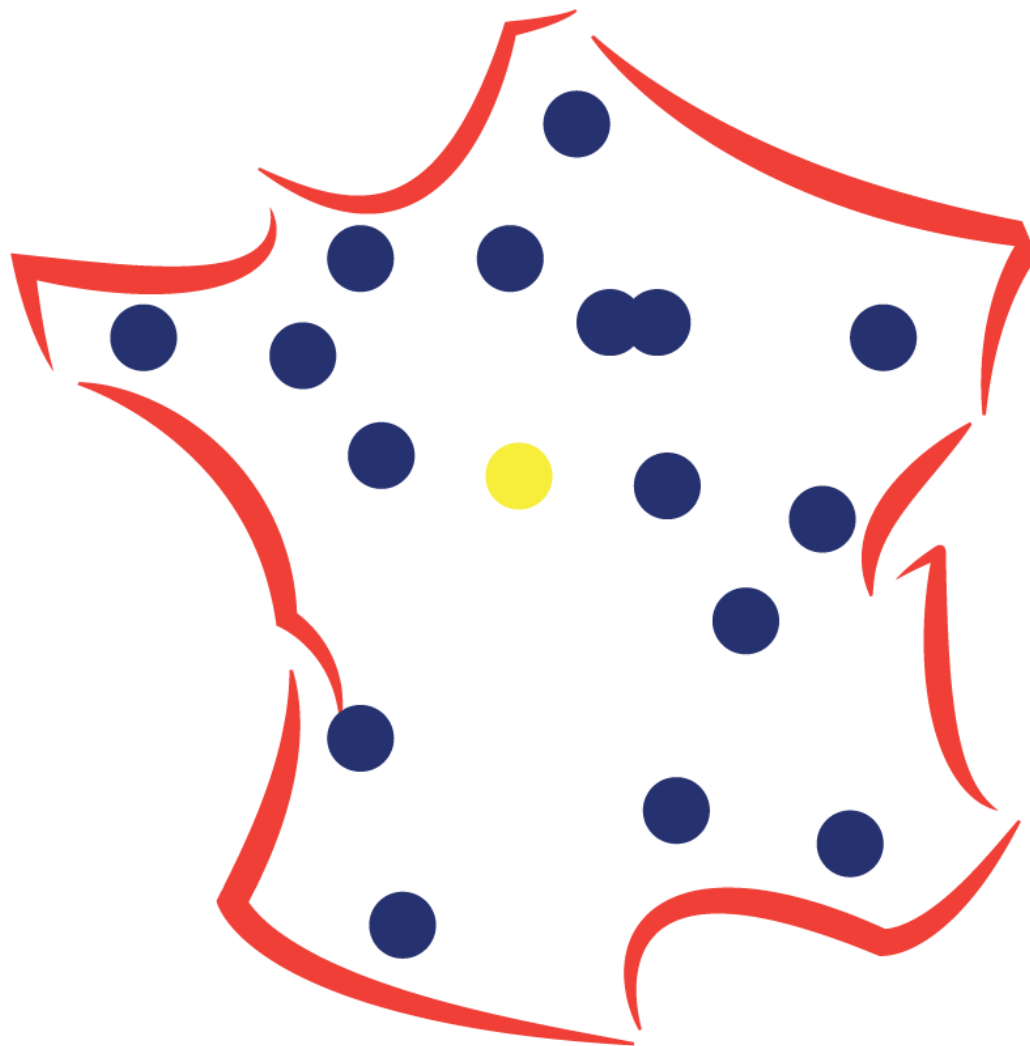
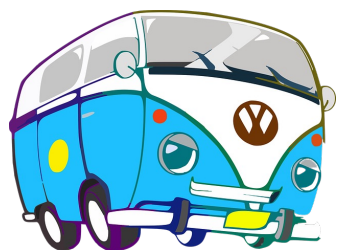
www.conect4children.org



PEDSTART une composante Inserm/F-CRIN



PEDSTART



CHU avec CIC
CHU sans CIC
CHG
Structures autres
Libéraux (AFPA)

● Tours ● Paris ● Lyon

● Lille ● Nantes



● **Ségolène GAILLARD**
Cheffe de Projet
PPI KIDS c4c



● **Alpha DIALLO**
Pharmacovigilance
Pharmacien c4c



● **Zane OPINCANE**
Cheffe de Projet c4c



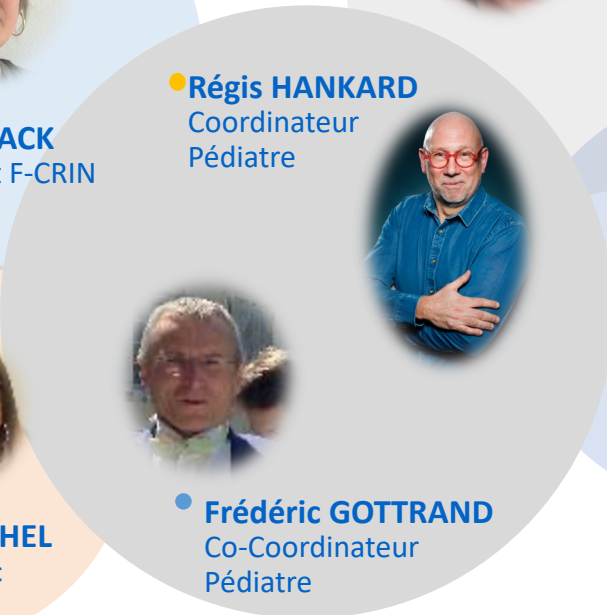
● **Séverine WACK**
Cheffe de Projet F-CRIN



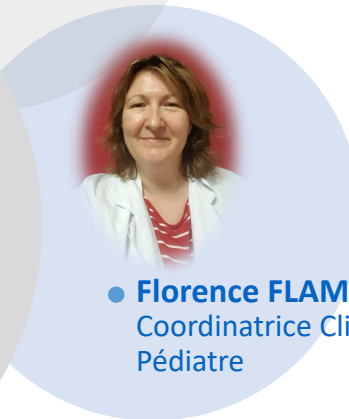
● **Sabrina PIERRE**
Référente Qualité
Pharmacienne c4c



● **Damien LANNOY**
Référent IMP
Pharmacien



● **Régis HANKARD**
Coordinateur
Pédiatre



● **Florence FLAMEIN**
Coordinatrice Clinique
Pédiatre



● **Corinne MICHEL**
Assistante c4c



● **Frédéric GOTTRAND**
Co-Coordinateur
Pédiatre



● **Jean Christophe ROZE**
Investigateur Pédiatre



● **Olinda PEDROSA**
Assistante F-CRIN

● **Karine FRANCOIS**
Assistante c4c



● **Aure VANHECKE**
Cheffe de Projet c4c

● **Naouel BOUAFIA**
Cheffe de Projet c4c

EQUIPE
Etude TREOCAPA



● **Corinne MICHEL**
Assistante c4c


Activités



i-reivac
Innovative clinical research network in vaccinology



COVIREIVAC
ENFANT



PedStart
F-CRIN Network



ECRIN
EUROPEAN CLINICAL RESEARCH INFRASTRUCTURE NETWORK

conect 4children
COLLABORATIVE NETWORK FOR EUROPEAN CLINICAL TRIALS FOR CHILDREN

NNN

EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EnprEMA NETWORK

ORPHANDEV
BRINGS SOLUTIONS TO PATIENTS WITH RARE DISEASES
F-CRIN EXPERTISE NETWORK



PedStart
F-CRIN Network

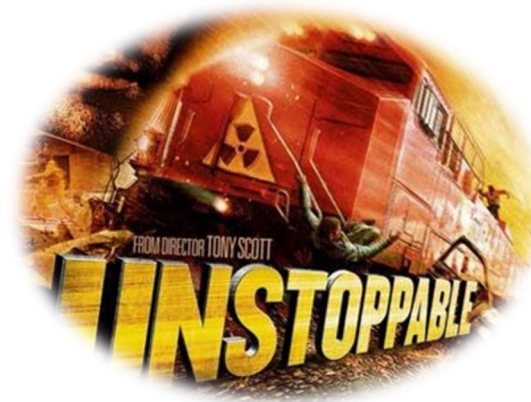
Expérience de l'Europe

Travailler ensemble
différemment

STAND4kids
SUPPORTING PEDIATRICS TRIALS | PORTUGAL



conect
4children
COLLABORATIVE NETWORK FOR EUROPE



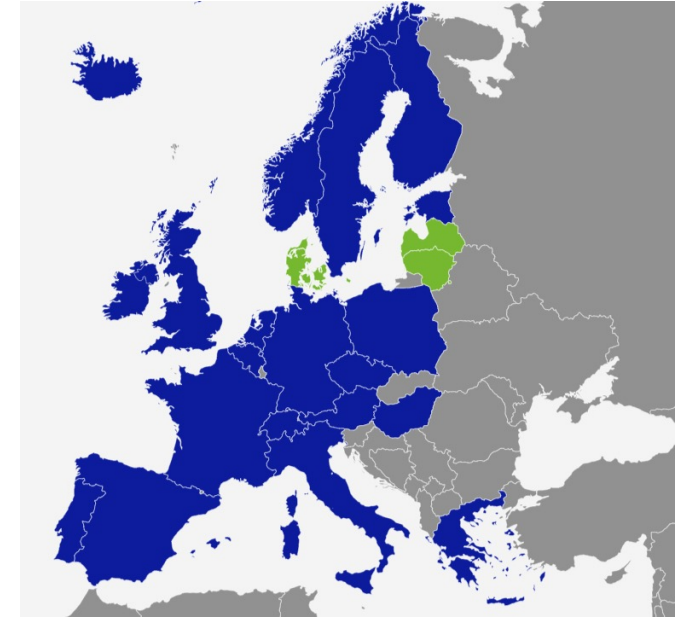
L'Inserm Rassemble !



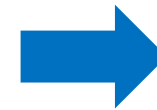
Follow up of the TREOCAPA study population

TREOCAPA
a c4c study

c4c Call : 6 m€



Messidor Call : 1,5 m€



Prem'Up



Essai Pérenne?



Etude HARMONIE

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

BRONCHIOLITE : ALORS QUE LA SAISON VA DÉMARRER, L'ESPOIR D'UN TRAITEMENT PRÉVENTIF PERFORMANT AVEC UNE ÉTUDE UNIQUE EN EUROPE



FRENCH CLINICAL RESEARCH INFRASTRUCTURE NETWORK



DR FLORENCE FLAMEIN

PÉDIATRE — CHU DE LILLE (NORD)
COORDINATRICE DE L'ÉTUDE HARMONIE, PEDSTART (F-CRIN)

	Final enrollment
France	2177
Germany	1790
United Kingdom	4094
Total	8061



ASSOCIATION FRANÇAISE DE PÉDIATRIE AMBULATOIRE

SCIENCES

Enfin des vaccins contre la bronchiolite

Un anticorps monoclonal et un vaccin maternel ont fait les preuves de leur efficacité pour protéger les nouveau-nés.

PAULINE FREOUR pfreour@lefigaro.fr

PÉDIATRIE Cet hiver, l'épidémie annuelle de bronchiolite chez les bébés a secoué les hôpitaux français comme jamais. Dans un contexte délicat caractérisé par le manque de soignants, l'ampleur de la vague a mis le système de soins sous forte tension. Si cette infection respiratoire courante est généralement bénigne, elle envoie tout de même 2 % à 3 % des bébés de moins d'un an à l'hôpital. Des décès sont, en outre, à déplorer chaque année.

Dans ce contexte, la perspective d'un vaccin protégeant les plus jeunes contre le VRS (virus respiratoire syncytial), principal responsable des bronchiolites chez les petits, est un grand espoir de longue date par les soignants et les parents. Des équipes de recherche sont mobilisées depuis des dizaines d'années sur le sujet, et la persévérance semble enfin payer, puisque pas moins de deux traitements (un vaccin maternel, qui permet à la mère de transmettre in utero ses anticorps à l'enfant, et un anticorps monoclonal pour les nourrissons) devraient être disponibles prochainement.

Immunsation passive

Développé par le laboratoire américain Pfizer, le vaccin maternel voit ses derniers résultats publiés dans la revue *New England Journal of Medicine (NEJM)* ce mercredi. Dans cet essai de phase 3 (la dernière étape nécessaire à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché), 3 700 femmes enceintes ont été vaccinées et comparées à 3 700 autres recevant un placebo. L'injection administrée entre la 24^e et 36^e semaine de grossesse a per-



Un bébé atteint de bronchiolite pris en charge à l'hôpital dans une unité pédiatrique. MORCILLO / B5P VIA AFP

mis de réduire les infections à VRS sévères chez les bébés de ces volontaires dans les 6 premiers mois de leur vie (19 cas recensés dans les tandems mère-enfant vaccinés, contre 62 dans le groupe placebo). Par ailleurs, sur la même période, 57 bébés ont contracté une bronchiolite non sévère dans le groupe vacciné, contre 117 dans le groupe placebo.

« Ces résultats indiquent une protection sur l'ensemble du spectre de la sévérité », notent les auteurs, tout en reconnaissant que certains objectifs fixés lors de la conception de l'essai n'ont pas été atteints. « L'efficacité reste néanmoins importante, tout comme la sécurité », souligne le Dr Florence Flamein, pédiatre au CHU de Lille, qui n'a pas participé à l'étude. Pfizer a dé-

posé une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) aux États-Unis et en Europe, et obtenu dans les deux cas une procédure d'examen accélérée. En Europe, la décision finale est attendue au deuxième semestre 2023. Une fois cette étape franchie, l'industriel devra encore solliciter les autorités sanitaires françaises pour que le vaccin soit remboursé. Il est donc peu probable que tout soit terminé à temps pour protéger les bébés à naître avant l'épidémie saisonnière de bronchiolite l'hiver prochain.

Mais le géant américain n'est ni le seul ni le plus avancé dans la course au sérum anti-VRS. En septembre dernier, le duo Sanofi-As-trazeneca a obtenu de l'Agence européenne du médicament un feu vert pour la commercialisation d'un « vaccin » destiné aux nouveau-nés, le Beyfortus. Ce médicament est en réalité un anticorps monoclonal, le nisivimab, qui induit une immunsation passive de l'enfant contre le VRS. Administré en une seule injection, il se lie à une protéine du virus nécessaire à l'in-

fection des cellules, la rendant inopérante.

Dans le *NEJM*, des experts d'As-trazeneca rappellent qu'un premier essai clinique de phase 3 a montré une efficacité à 77 % contre l'hospitalisation des bébés au cours des cinq premiers mois, et de 79 % contre les infections très sévères. Malgré l'AMM européenne, le Beyfortus n'est pas encore disponible en France : le laboratoire prévoit de déposer un dossier auprès de la HAS en vue de son remboursement et attend pour cela les résultats d'un autre essai en cours (baptisé « Harmonie »), lancé cet hiver en France, en Allemagne et au Royaume-Uni pour évaluer la portée d'une immunsation sur les hospitalisations des tout-petits, en les comparant à des enfants non traités. Pas moins de 72 centres hospitaliers et pédiatres de ville français participent à l'étude, dont les résultats préliminaires sont attendus courant avril. « Nous sommes confiants quant à l'efficacité du vaccin, puisqu'il a déjà obtenu une AMM », souligne le Dr Florence Flamein, coordinatrice nationale de l'essai. L'enjeu est d'évaluer le bénéfice médico-économique. » On peut donc espérer que les enfants pourront en profiter dès l'automne prochain.

Protégés dès les premiers jours de vie

« C'est une excellente nouvelle, un rêve qui devient réalité ! » enthousiasme le Pr Christèle Gras-Le Guen, présidente de la Société française de pédiatrie, sur ces deux médicaments. Cela devrait améliorer de façon spectaculaire la période hivernale, qui est très compliquée pour les soignants comme pour les familles. Le vaccin maternel ainsi que l'anticorps monoclonal qui peut être administré sans douleur à tous les nouveau-nés dès la maternité permettraient de protéger les bébés dès leurs premiers jours contre les formes graves. Or, il s'agit que le risque d'hospitalisation est plus élevé pendant les trois premiers mois de vie. » La pédiatre insiste toutefois sur le fait que les bons réflexes devront rester de mise pour les familles, car la protection d'un vaccin n'est jamais de 100 % (éviter les rassemblements et les lieux publics avec un tout petit bébé, se laver les mains en cas de rhume, etc.). ■

Trois produits en lice pour les personnes âgées

Les personnes âgées paient aussi chaque hiver un lourd tribut au VRS, qui provoque chez eux des pneumonies. Deux vaccins, visant spécifiquement ce public, sont en fin de développement. Le laboratoire Pfizer publie ce mercredi dans le *New England Journal of Medicine* les résultats d'un essai de phase 3 mené sur 34 000 participants de 60 ans et plus.

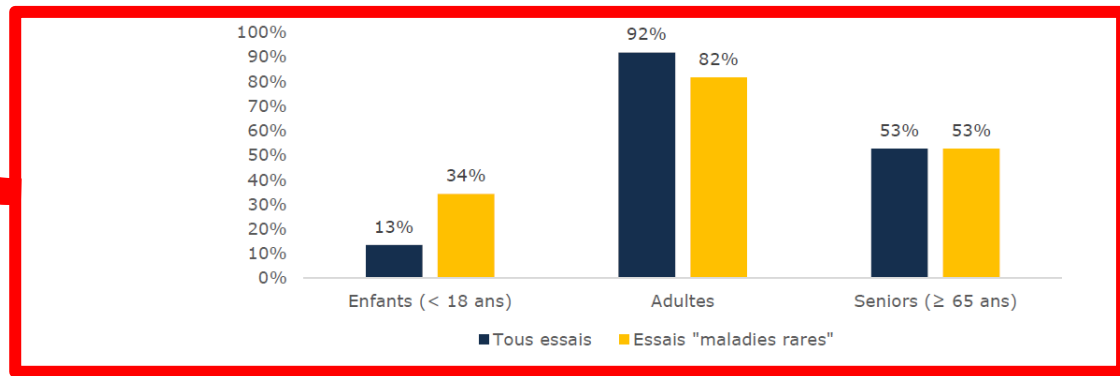
La moitié a reçu une injection du vaccin, et a vu son risque de présenter deux symptômes d'infection respiratoire réduit de 66 % (par rapport au groupe placebo), et celui de faire une forme sévère de 62 %. L'industriel américain a déposé une demande européenne d'autorisation de mise sur le marché en procédure accélérée. Mais il

n'est pas seul en course : son concurrent britannique, GSK, a lui aussi déposé un dossier pour un vaccin destiné aux seniors. Une étape que Moderna n'a pas encore atteinte, mais la biotech américaine a revendiqué en janvier une meilleure efficacité (84 %) de son vaccin à ARN, selon des résultats intermédiaires d'essai de phase 3. P. F.

Maladies rares



No Redundancy



- ✓ KiDS Rare
- ✓ EXACT ? (autism)

&





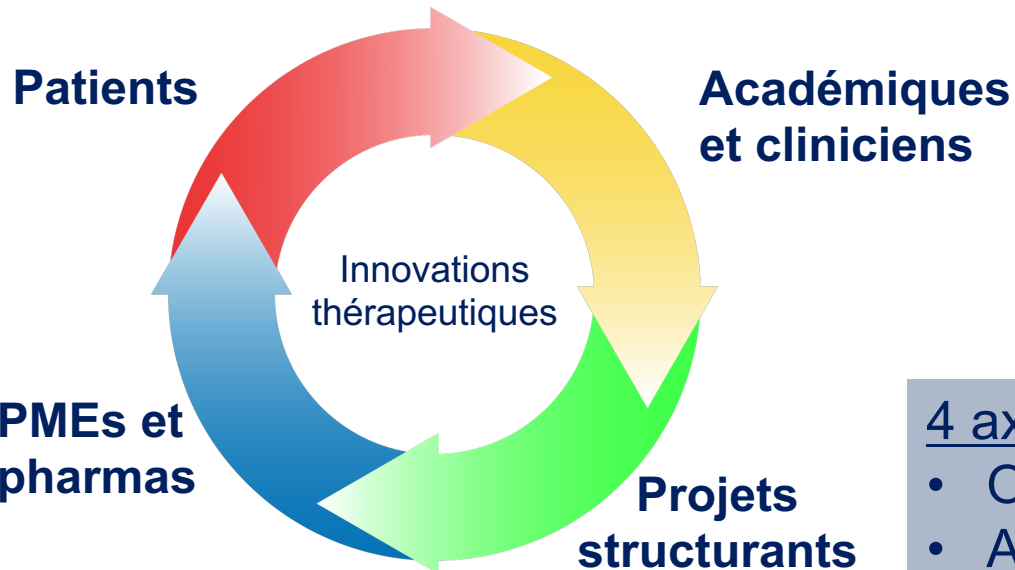
ORPHANDEV



Réseau d'expertise dédié aux maladies rares

- ⇒ Mission renforcée par le PNMR3
- ⇒ Fond. MR, Agence MR, AFM, LEEM, France Biotech, Imagine,... & PEDSTART

🎯 *La fertilisation croisée entre toutes les parties concernées par les maladies rares est la clé pour dépasser les problèmes et les impasses et pour développer les innovations*



Initiative collaborative :

- ✓ **transversalité, décloisonnement**
- ✓ **co-construction de solutions**
- ✓ **interface neutre fluidifiant les interactions avec les instances**
- ✓ **focus projets**
- ✓ **expertise facilitante**

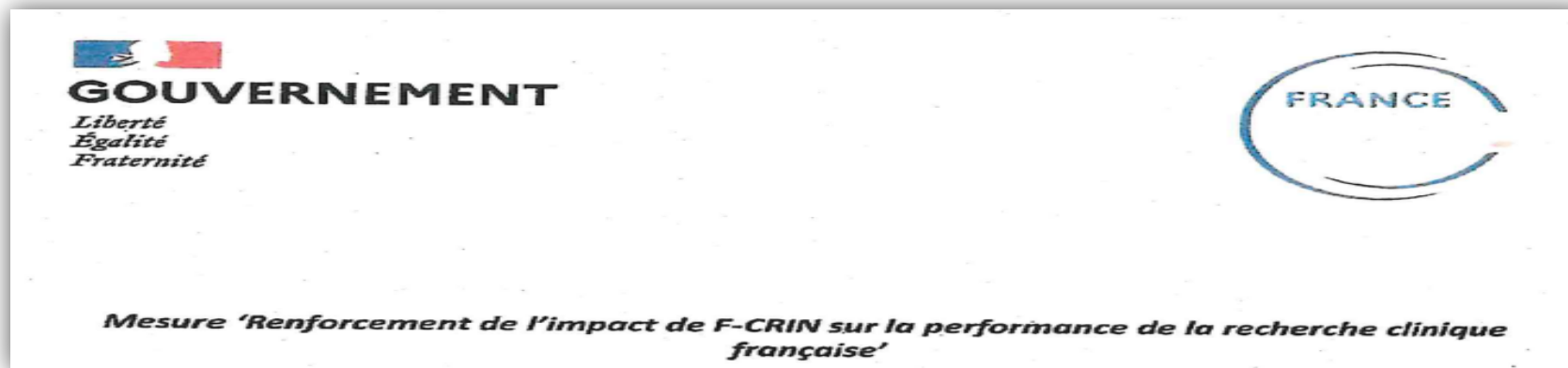
➔ accélérer la mise à disposition des **innovations** pour les malades

4 axes :

- Opérationnalisation de la **recherche clinique**
- Amélioration des parcours par les données et **l'IA**
- Consolidation de l'**accès aux traitements**
- Renforcement de l'attractivité par la **coopération européenne**

Lettre de mission F-CRIN 2024-2028

Pédiatrie et Soins Primaires



1. Emergence de nouveaux réseaux
2. Essais pérennes et plateforme
3. Soins primaires +++



Jeudi 14 décembre 2023
Liberté Living Lab - Paris



JOURNÉE SCIENTIFIQUE PEDSTART 1ÈRE ÉDITION

« AXE CERVEAU INTESTIN CHEZ L'ENFANT »

Le réseau PedStart a pour rôle de contribuer à l'animation scientifique en recherche clinique pédiatrique.

Nous vous proposons de participer à la première Journée Scientifique PedStart qui rassemble des acteurs académiques et industriels en recherche clinique pédiatrique.



Les Assises de la Pédiatrie

Journées Scientifiques Pedstart

- Un double objectif :
 - Contribuer à l'animation scientifique en recherche clinique Pédiatrique
 - Rapprocher les experts Pédiatres et les industriels en contact
- Format
 - Une matinée scientifique, une table ronde avec les industriels l'après midi
- Public
 - Des experts hospitaliers (collège pédiatrie, sociétés savantes, ...), des experts libéraux, des acteurs de la recherche
 - Des jeunes pédiatres (internes)
 - Des représentants de patients
- Première !
 - Jeudi 14 décembre 2023, Paris
 - Axe intestin cerveau (Prs F Bonnet-Brilhault, F Gottrand, des personnalités scientifiques, les Pédiatres de l'AFPA)



Forces

- « Success story »
- Réseau
- Soins Primaires
- I Reicac
- VOUS !?

Faiblesses

- Réactivité institution
- CDD!

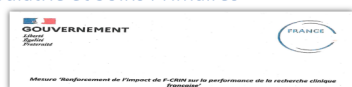
Menaces

- Chacun pour soi!
- Rapports avec les hôpitaux
- Redondances
- Médecine hospitalière

Opportunités

- Institutionnels-> institutionnels
- Europe & c4c-S
- FCRIN 2024-28

Lettre de mission F-CRIN 2024-2028
Pédiatrie et Soins Primaires



1. Emergence de nouveaux réseaux
2. Essais pérennes et plateforme
3. Soins primaires +++



Quand nous joindre ?

- Inserm +++
- Projet ambitieux
 - Académique
 - Industriel
- Multicentrique et/ou Européen
- Affichage (PEDSTART/ORPHANDEV)
 - Réseau clinique constitué et national
 - AO maladies rares
- Déploiement Européen
 - C4C-S, ECRIN
- Pharmacovigilance
- Rémunération : temps CDP

Merci de votre attention

pedstart@inserm.fr

Pedstart.org

