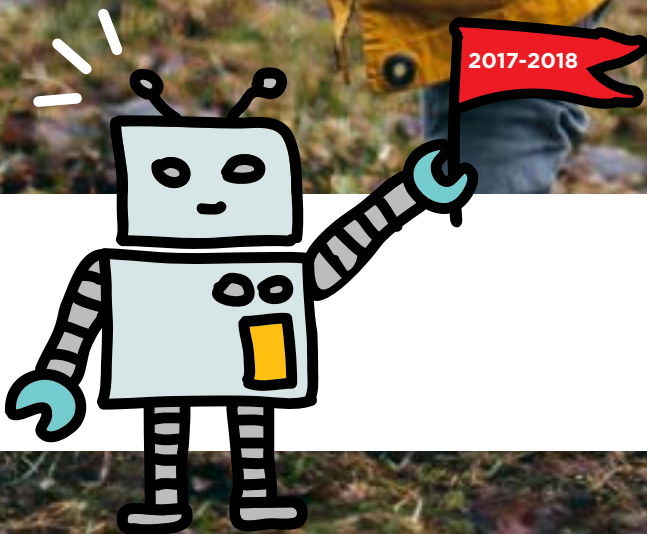




RAPPORT ANNUEL

ANNUAL REPORT

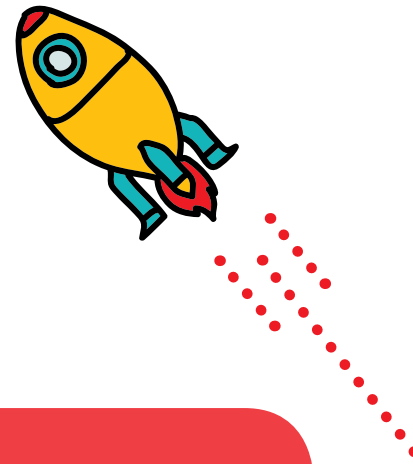


centre de formulations
pédiatriques
de la famille Resaland et Morris Goodman
du CHU Sainte-Justine



The Resaland & Morris Goodman Family
pediatric formulations
centre
of the CHU Sainte-Justine

TABLE DES MATIÈRES



3
Message de la
Direction

4
Le Centre de
formulations
pédiatriques
Goodman

5
Objectifs
du Centre

6
Services du Centre

7
Réalizations
2017-2018

11
Remerciements

12
ANNEXE

12
Liste des
acronymes

12
Contacts



Catherine Litalien



Andrea Gilpin

MESSAGE DE LA DIRECTION

Au cours de la dernière année, le Centre de formulations pédiatriques Goodman (CFPG) a parcouru beaucoup de chemin, notamment en participant à de nombreuses rencontres locales et internationales, où certains membres de l'équipe ont pris la parole afin d'être reconnus comme chef de file mondial en matière de développement de nouvelles formulations pédiatriques. De plus, une toute nouvelle liste de 60 médicaments nécessitant une nouvelle formulation adaptée aux enfants a vu le jour. Cette liste, dite prioritaire, émane d'un recensement effectué en avril 2017 auprès de pharmaciens provenant de treize centres hospitaliers pédiatriques à travers le pays. La liste a reçu un accueil très favorable lors du passage du Centre de formulations pédiatriques Goodman au congrès international de l'EuPFI¹, de l'AAPS et de l'ASCPT. Par la suite, ladite liste a été soumise à des partenaires de l'industrie pharmaceutique afin de susciter leur intérêt pour éventuellement amener au Canada les médicaments identifiés sur la liste.

Par ailleurs, le Centre continue d'utiliser son expertise pour sensibiliser certains acteurs clés aux enjeux en lien avec les formulations pédiatriques, et participer à la création d'un climat favorable au développement de formes pharmaceutiques spécialement conçues pour les enfants. Plusieurs discussions ont eu lieu au fil des mois avec des instances gouvernementales dont Santé Canada, l'INESSS et l'ACMTS. Ces derniers doivent devenir les alliés du Centre afin de transformer le système en place. Il est également primordial de poursuivre le dialogue avec les politiciens, les pédiatres, les pharmaciens, d'autres hôpitaux pédiatriques du Canada (et à l'étranger), l'industrie pharmaceutique ainsi que les patients et leur famille, qui eux, sont au cœur de notre projet.

Enfin, nous souhaitons que l'année 2018-2019 puisse déboucher sur l'arrivée de nouveaux médicaments adaptés à tous les jeunes patients canadiens. C'est là que notre mission prend tout son sens. Toute l'équipe y travaille très fort et met l'épaule à la roue. N'hésitez pas à faire circuler le présent document dans vos réseaux, à visiter notre site web et à suivre nos médias sociaux afin de rester à l'affût de nos dernières nouvelles.

Catherine Litalien

Andrea Gilpin

1. La liste des acronymes se trouve à la page 12 du présent document.

LE CENTRE DE FORMULATIONS PÉDIATRIQUES GOODMAN

Qui nous sommes

[Le Centre de formulations pédiatriques Goodman](#) (CFPG) du CHU Sainte-Justine est un organisme à but non lucratif qui a démarré ses activités le 22 février 2016 grâce à la contribution de la Fondation de la Famille Morris et Rosalind Goodman. Le CFPG s'engage à améliorer l'accès à des médicaments adaptés aux besoins des enfants tout en augmentant l'efficacité, la sécurité et l'observance des traitements médicamenteux. Seul Centre du genre au pays, son équipe est composée de chercheurs, de pédiatres et de pharmaciens travaillant conjointement à l'atteinte de ces objectifs.

Mission

Être la voix des enfants canadiens de tous âges afin d'améliorer l'accès aux médicaments adaptés à leurs besoins en mettant en place un environnement propice au développement et à la mise en marché de formulations pédiatriques. Le CFPG poursuit sa mission autour de quatre piliers fondamentaux :

1

Assurer l'exploitabilité des activités du Centre

2

Garantir l'accès à des formulations pédiatriques

3

Faire reconnaître notre expertise à titre de chef de file

4

Prendre part à la défense de la cause

Pourquoi un Centre de formulations pédiatriques ?

Plusieurs médicaments utilisés chez les enfants n'existent pas sous une forme pharmaceutique adaptée à leurs besoins. Une grande partie des médicaments administrés par voie orale est destinée aux adultes sous forme de capsules ou de comprimés. Ces façons d'administrer un médicament ne permettent pas la flexibilité requise pour des enfants d'âges variés, allant des nouveau-nés jusqu'aux adolescents, car ces derniers ont besoin de doses très variées. Ainsi, on doit souvent modifier les médicaments destinés aux adultes en vue de les administrer aux enfants à la dose souhaitée. Ils sont, à ce titre, utilisés « hors indication » et c'est par conséquent la forme pour adulte qui est manipulée soit par un professionnel de la santé, tel un pharmacien, ou soit par les parents à la maison. Ce dernier processus fait référence à la fabrication de « préparations magistrales », une pratique courante concernant les médicaments qui n'ont pas de formulations adaptées aux besoins des jeunes patients. [Cliquez ici pour voir une courte vidéo sur la préparation magistrale](#). Puisque les médicaments utilisés de cette façon n'ont pas été approuvés par le processus rigoureux de Santé Canada, il est parfois difficile d'accéder à toutes leurs caractéristiques. Il est donc primordial de permettre aux enfants de tous âges d'avoir accès à des médicaments qui répondent adéquatement à leurs besoins. Cela peut faire la différence entre le succès ou l'échec d'un traitement médicamenteux et prévenir la survenue d'effets indésirables.

OBJECTIFS DU CENTRE

Le Centre de formulations pédiatriques Goodman souhaite faciliter le développement et l'autorisation de mise sur le marché de formulations médicamenteuses pour enfants sécuritaires et efficaces en :

- faisant la promotion d'une approche axée sur la recherche en ce qui concerne le développement de formulations;
- faisant en sorte que les milieux clinique, réglementaire et du remboursement favorisent le développement de formulations pédiatriques en cernant les obstacles et les problèmes inhérents au processus de développement de médicaments;
- contribuant à la découverte de mesures incitatives susceptibles de stimuler et de favoriser le développement de formulations pédiatriques;
- agissant à titre d'agent de changement;
- soutenant la mise en place de traitements abordables destinés aux enfants;
- favorisant l'innocuité des médicaments administrés aux enfants.

Ces objectifs cadrent avec un rapport publié en 2012 par le Conseil des académies canadiennes intitulé

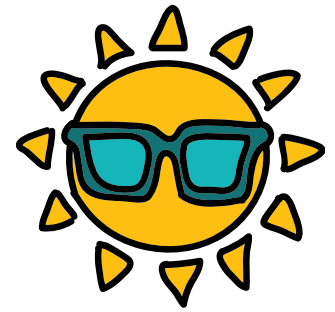
« Améliorer les médicaments pour enfants au Canada »



De plus, notre mandat appuie l'égalité d'accès aux médicaments pédiatriques partout au pays, ce qui est conforme à un récent rapport des organismes de santé pancanadiens qui stipule l'égalité comme un attribut important de notre système de soins de santé.



SERVICES DU CENTRE



Le Centre offre les services suivants relativement au développement et à l'approbation réglementaire de formulations pédiatriques :

1

Expertise clinique, pharmacologique et réglementaire

- Détermination des besoins des enfants ;
- Mise en place d'un plan de développement de formulations pédiatriques (PERFORM) comprenant la validation de propositions de produits ou de formulations effectuées par des sociétés pharmaceutiques ;
- Rédaction d'un Mini-Perform nommé PMCA (*Pediatric Medical and Clinical Assessment*) incluant la taille du marché pédiatrique canadien afin de fournir les données de certains médicaments aux partenaires pharmaceutiques et ainsi les aider à monter un plan d'affaire ;
- Rédaction d'une revue systématique à l'aide du guide méthodologique Cochrane ;
- Services de consultation (clinique, affaires, réglementaire et autres).

2

Services et expertise en matière de recherche clinique

- Faciliter le recrutement à des fins de recherche ;
- Capacité de recherche grâce à un service d'études cliniques au sein duquel travaille un personnel qualifié ;
- Expertise en matière de conception et de réalisation d'études sur l'efficacité et la sécurité, ainsi que sur la pharmacocinétique chez les enfants ;

3

Contribution lors d'activités de sensibilisation aux échelles provinciale, fédérale et internationale afin d'appuyer notre plaidoyer

Des services supplémentaires peuvent être offerts au besoin.

RÉALISATIONS 2017-2018

1

Assurer l'exploitabilité des activités du Centre



Objectif: Réunir une équipe hautement fonctionnelle afin de mener à bien la mission et les objectifs du CFPG.

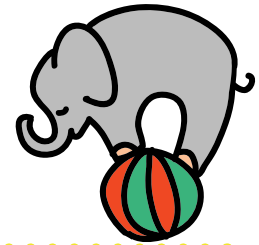
Stratégie: Contribuer à la synchronisation et à l'efficacité de l'équipe du CFPG. Poursuivre la diversification de l'offre de services du Centre envers nos partenaires à mesure qu'apparaissent les besoins.

Nos réalisations

- Le CFPG possède son propre site Web depuis septembre 2017, une bannière pour conférence, une présence sur les médias sociaux (FB, TW et LinkedIn) depuis mars 2018;
- Le CFPG a mis en place une stratégie de communication interne au CHU Sainte-Justine et au Centre de recherche :
 - a. Le CFPG apparaît désormais sur le site web du CHU Sainte-Justine sous l'onglet Recherche - Plateformes et services - Plateformes ;
 - b. Le CFPG est apparu dans l'Infolettre mensuelle du Centre de recherche en mars 2018;
 - c. Le CFPG a participé à un panel de discussions d'une demie journée lors de la Semaine de la Qualité et de l'Innovation au CHU Sainte-Justine. Lors de ce panel, le CFPG a fait trois présentations dont deux impliquant des conférenciers spécialistes venus de l'extérieur;
 - d. Le CFPG a fait une présentation lors de la Réunion scientifique départementale de pédiatrie où les professionnels de la santé se rassemblent une fois par mois afin d'en apprendre plus sur un sujet précis.
- Le Centre a subi des transformations et une réorganisation afin d'être en ligne avec son plan stratégique. De ce fait, deux postes ont été abolis et deux autres ont été créés: un poste de Conseillère aux opérations et communications et un poste de Conseillère scientifique et médicale occupée par une pharmacienne possédant plusieurs années d'expérience dans l'industrie pharmaceutique. De plus, le CFPG bénéficie de l'appui d'une comptable à raison d'une fois par semaine.
- Le CFPG a développé un plan stratégique qui repose sur 4 piliers fondamentaux.

2

Garantir l'accès à des formulations pédiatriques



Objectif: Promouvoir l'accessibilité à des formulations pédiatriques commerciales par l'entremise de partenariats multiples avec l'industrie pharmaceutique.

Stratégie: La première initiative consiste à dénicher des partenaires au sein de l'industrie pharmaceutique afin de développer et de promouvoir les médicaments d'importance nationale selon la liste prioritaire du Centre. La seconde initiative consiste à collaborer avec les principales parties prenantes afin d'élaborer des mesures incitatives visant à stimuler l'investissement de l'industrie dans les formulations pédiatriques.

Nos réalisations

1. Au total, des échanges ont eu lieu avec **22 compagnies pharmaceutiques** au cours de la dernière année et **6 ententes de confidentialité** ont été signées. Plusieurs partenariats éventuels sont en cours avec les compagnies suivantes:
 - Nous continuons à travailler avec un partenaire pharmaceutique qui nous accompagne depuis le début des activités du Centre. Ce partenariat a mené au dépôt de la soumission d'un médicament (Amlodipine) à Santé Canada en mars 2018 et la soumission d'un autre médicament (Leviteracetam) sera déposée en juin 2018;
 - Deux ententes de collaboration sont en cours avec des compagnies pharmaceutiques pour deux médicaments apparaissant sur la liste de médicaments prioritaires du Centre. L'un des partenaires pharmaceutiques a d'ores et déjà annoncé son intérêt à investir temps et argent avec le Centre pour développer une formulation adaptée aux enfants qui n'existe ni au Canada, ni en Europe et ni aux États-Unis. Nous sommes dans l'attente de leur choix de médicament afin de monter un plan financier pour le projet. Pour ces deux projets, nous espérons recevoir les termes de l'entente au cours de l'été.
2. Une liste de médicaments prioritaires a d'abord été conçue par le CHU Sainte-Justine et a ensuite été validée à l'aide d'un recensement auprès de **13 centres hospitaliers pédiatriques** à travers le pays:
 - La liste est divisée en trois catégories selon des critères précis;
 - Des fiches techniques de données ont été complétées pour 20 médicaments ciblés;
 - La liste de médicaments prioritaires a été présentée à la **DIA** à Ottawa en juin 2017, à la conférence internationale de l'**EuPFI** en septembre 2017, à l'**AAPS** en novembre 2017 et à l'**ASCPT** en mars 2018 et a généré un grand intérêt;
 - Rédaction d'une étude de cas soulignant les défis rencontrés au niveau du remboursement et de la réglementation pour les médicaments pédiatriques;
 - Deux publications découlent présentement de cette initiative:
 - Categorization Study
 - Pan Canadian Study

3

Faire reconnaître notre expertise à titre de chef de file



Objectif: Afin d'améliorer l'accès aux formulations pédiatriques, nous désirons bâtir et renforcer notre expertise tout en approfondissant nos connaissances sur le sujet. Nous souhaitons devenir une référence incontournable au Canada et participer à des initiatives mondiales en la matière.

Stratégie: Accroître la visibilité du Centre à l'externe en jouant un rôle actif et en participant à des congrès, des rencontres avec les parties prenantes, en prenant position, en acceptant des invitations à participer à des comités de travail, etc. Nous voulons contribuer à améliorer la sécurité des médicaments pédiatriques en offrant notre expertise au besoin.

Nos réalisations

Le CFPG a brillé par sa présence lors de plusieurs rencontres locales et internationales:

- Conférencier principal lors de la rencontre *The Canadian Meeting of the DIA* à Ottawa en juin 2017;
- Présentation orale, affiche scientifique et kiosque lors de la conférence internationale de l'**EuPFI** en septembre 2017;
- Présentation orale, affiche scientifique, kiosque et rencontres lors de la réunion et de l'exposition annuelle de l'**AAPS** en novembre 2017;
- Présentation orale lors de la réunion annuelle de l'**ASCPT** en mars 2018;
- Rencontre à **Québec** avec la **Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux** pour présenter une affiche scientifique;
- Conférencier lors de la Réunion scientifique départementale de pédiatrie au CHU Sainte-Justine le 28 mars 2018;

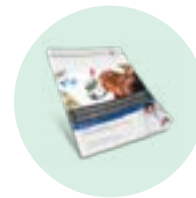


De nouveaux partenariats ont été mis en place:

- La Société Canadienne de pédiatrie et le Centre de formulations pédiatriques Goodman ont organisé une rencontre conjointe en janvier 2018 rassemblant 21 participants de 10 organisations différentes. Il s'agissait d'une première quant au rassemblement sous un même toit de pédiatres, de pharmaciens, d'experts en réglementation et d'experts en remboursement. La Société canadienne de pédiatrie et le Centre de formulations pédiatriques Goodman procèdent actuellement à la rédaction d'un *Policy Paper* avec l'appui des experts et des organismes ayant participé à la rencontre. Le *Policy Paper* souligne les défis reliés aux difficultés d'amener des formulations pédiatriques au Canada. Il sera présenté à Santé Canada d'ici l'automne 2018 et sera par la suite mis en ligne sur notre site Web.
- Le Centre continue de se construire une notoriété au sein du CHU Sainte-Justine auprès de gastroentérologues, de néphrologues, de cardiologues et de neurologues.

4

Prendre part à la défense de la cause



Objectif : Accroître la sensibilisation et contribuer à la transformation du milieu afin d'améliorer l'accès aux formulations pédiatriques au Canada.

Stratégie : En nous inspirant de deux rapports importants publiés au cours des dernières années, soit : « **Améliorer les médicaments pour enfants au Canada** » et « **Les produits pharmaceutiques sur ordonnance au Canada : emploi non conforme à l'étiquette** », nous créons des alliances avec les principales parties prenantes afin de contribuer à l'amélioration du processus d'approbation et de remboursement des médicaments pédiatriques au Canada.

Nous cherchons à comprendre la position de diverses parties prenantes (dont les associations liées à l'industrie) et à collaborer avec elles afin d'appuyer des changements qui inciteront à investir dans les formulations pédiatriques au Canada. En tant qu'agents de changement, nous ferons appel à l'expertise de notre équipe (notamment sur le plan clinique ainsi qu'en matière de recherche et de réglementation) afin d'appuyer des initiatives visant à rendre le marché canadien propice au développement et à la promotion de formulations pédiatriques.

Nos réalisations

- Depuis janvier 2018, des discussions préliminaires sont en cours avec l'ACMTS au sujet du processus de remboursement des formulations pédiatriques ;
- Le Centre a pris contact avec la Direction des médicaments de l'INESSS le 12 octobre 2017 pour lui présenter les activités et la mission du Centre ;
- Une rencontre a eu lieu avec l'Institut universitaire de gériatrie de l'Université de Montréal afin de discuter des similarités entre les enfants et les personnes âgées quant à l'administration de médicaments ;
- Développement d'une stratégie visant le remboursement et le gouvernement au sujet des médicaments génériques ;
- Réponse sous forme de lettre de contestation, en partenariat avec KidsCAN Trials, suite à la proposition de Santé Canada d'augmenter les frais associés à la commercialisation d'un médicament ;
- Réponse sous forme de lettre d'appui suite à une consultation de Santé Canada concernant un nouveau mécanisme de réglementation qui permettrait l'acceptation, sur la base de décisions étrangères (ex : États-Unis ou Union Européenne), des soumissions concernant des médicaments qui sont vendus sous ordonnance et qui respectent certains critères ;
- A contribué à une consultation concernant le renouvellement du programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada ;
- Participation à un sondage web afin de fournir des commentaires de type pédiatriques au sujet des changements qui pourraient être faits quant à l'évaluation prioritaire des soumissions à Santé Canada.

REMERCIEMENTS

Nous avons l'immense chance d'être entouré de plusieurs personnes qui sont touchés par notre mission et qui offrent au CFPG leurs conseils, leur soutien et leur expertise en nature. Nous ne serions pas où nous sommes aujourd'hui sans leur appui indéfectible.



ANNEXE

Liste de médicaments prioritaires
Deux lettres à Santé Canada

Liste des acronymes

Eupfi: European Paediatric Formulation Initiative

INESSS: Institut National d'excellence en santé et en services sociaux

ACMTS: Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé

AAPS: American Association of Pharmaceutical Scientists

ASCPT: American Society for Clinical Pharmacology & Therapeutics

DIA: Drug Information Association

PMCA: Pediatric Medical and Clinical Assessment

CONTACTS

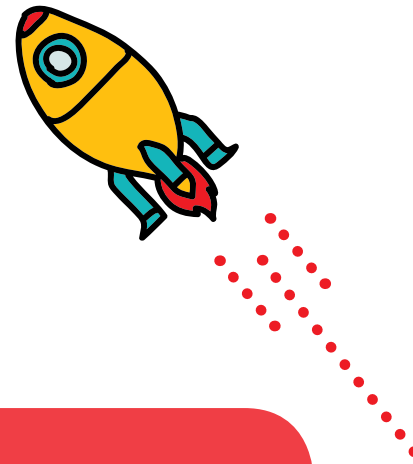
Andrea Gilpin, Directrice général

Tél.: (514) 435-4931 #3655

Site web: CfpgCanada.com / GpfcCanada.com



TABLE OF CONTENTS



14
Directors' Message

15
The Goodman
Pediatric
Formulations
Centre

16
Goals of the Centre

17
Services Offered

18
Achievements
2017-2018

22
Acknowledgments

23
Addendum

23
List of acronyms

23
Contact Person



Catherine Litalien



Andrea Gilpin

DIRECTORS' MESSAGE

Over the past year, the Goodman Pediatric Formulations Centre (GPFC) has come a long way, taking part in many local and international meetings, at which some team members spoke and were recognized as leaders in the field of developing new pediatric formulations. An important part in advocating for pediatric medications is to understand which medications are most in need of the development of a pediatric formulation. To this end, a prioritized list was created of 60 drugs requiring new formulations appropriate for children. This priority list was the result of a 2017 survey addressed to pharmacists representing 13 pediatric hospital centres across the country. The list was presented at several international conferences including, EuPFI¹, AAPS, and ASCPT. With this priority list in hand, the GPFC sought partners in the pharmaceutical industry in order to raise their interest in eventually bringing the listed drugs into Canada.

The GPFC continues to put its expertise to work raising certain key players' awareness of issues related pediatric formulations, as well as participating in the creation of an atmosphere that is favourable to the development of pharmaceutical forms specially designed for children. Many discussions were held over the months with government authorities, among which were Health Canada, the INESSS, and the CADTH. Rallying these government agencies is the first step in transforming and improving the present health care system. It is also of the highest importance to pursue the dialogue with politicians, pediatricians, pharmacists, other Canadian (and foreign) pediatric hospitals, the pharmaceutical industry, as well as the patients and their families who are the heart of our project.

In conclusion, we hope that the year 2018-2019 will bring closer the arrival of new drugs adapted to our young Canadian patients. That is the whole meaning of our mission. All our members are giving it their best effort to improve access to child friendly medicines in Canada. We invite you to visit our website, share this Annual Report with colleagues and friends, and follow us on social media in order to keep abreast of our latest news.

Catherine Litalien

Andrea Gilpin

1. The list of acronyms can be found on page 16 of this document.

THE GOODMAN PEDIATRIC FORMULATIONS CENTRE

Who We Are

The Goodman Pediatric Formulations Centre (GPFC) of the CHU Sainte-Justine is a non-profit and was created in 2016 thanks to the contribution of the Rosalind & Morris Goodman Foundation. The Centre is committed to improving access to child-friendly medicines by increasing the efficacy, safety and compliance of medicines for children. To achieve these important and ambitious goals, we have joined together to mobilize a collaboration of researchers, pediatricians and pharmacists with the requisite depth of expertise and breath of influence.

Mission

To be the voice of Canadian children of all ages in order to improve access to medicines that meet their needs by creating an environment conducive to the development and marketing of pediatric formulations. In order to build a sustainable Centre, the GPFC works around four pillars:

- 1** Operationalize the Centre
- 2** Make pediatric formulations available
- 3** Recognition of expertise & leadership
- 4** Building advocacy for the cause

Why do we need a Pediatric Formulations Centre?

Many medicines used in children are not available in pharmaceutical forms adapted to their needs. Indeed, most oral medications are produced for adults as tablets and capsules, which lack dosing flexibility to meet dosage requirements of the spectrum of ages and sizes, ranging from neonates to adolescents. Furthermore, most children under the age of 8 are unable to swallow pills. Approved adult forms often need to be modified in some manner to administer the desired dose to children, and as such are used off-label. When this happens, the adult form is manipulated by either a health care provider, such as pharmacist, or at home by the parents or caregivers (e.g., grinding a tablet and sprinkling it into fluid or a food vehicle such as apple sauce). This process is called compounding and is commonplace for those medicines that lack pediatric formulations. [Click here to watch a short video](#). Given that compounded medicines are not approved by Health Canada's rigorous process, we do not always know the medication's characteristics. Therefore, it is sometimes difficult to know the exact quantity of the medicine that is absorbed. Furthermore, food vehicle (e.g., apple sauce, juice or yogurt) used to administer these compounded medicines, or to mask the bad taste of some formulations, can alter drug absorption. We strive to contribute to making available convenient and high-quality pediatric products adapted to children's needs. It is important as the formulation can spell the difference between successful treatment and therapeutic failure as well as reduce side effects.

GOALS OF THE CENTRE

1. To facilitate the development and market authorization of safe and effective pediatric drug formulations by:
 - Promoting a research-based approach to pediatric formulation development;
 - Contributing to a clinical and regulatory environment that fosters pediatric formulation development;
 - Contributing to uncovering incentives that could stimulate and attract the development of pediatric formulations;
 - Identifying hurdles and challenges in the drug development process as well as in the regulatory landscape and act as a change agent;
 - Promoting cost effective treatment for children.

2. To promote safety of medicines administered to children.

These goals are aligned with a 2012 report of the Council of Canadian Academies,

“ Improving Medicines for Children in Canada”



In addition, our mandate supports equal access to pediatric medicines across the country which is aligned with a recent report of the Pan-Canadian Health Organizations that cited equality as an important attribute to our health care system.



SERVICES OFFERED



The Centre provides to the pharmaceutical industry, or other Parties, the following services in relation with the development and regulatory approval of pediatric formulations:

1

Clinical, pharmacological and regulatory expertise

- Identification and prioritization of children's needs
- Development of Pediatric Formulation Development Plan (PERFORM)
- Writing of a Mini-Perform called PMCA (Pediatric Medical and Clinical Assessment) which includes the size of the Canadian pediatric market in order to provide data on certain drugs to the pharmaceutical partners, thus helping them to create a business plan.
- Writing of a systematic review using the Cochrane methodological guide.
- Consultation services (clinic, business, regulatory, and other)

2

Clinical research services and expertise

- Research capacity with clinical investigation unit and trained personnel in pediatrics;
- Expertise in the design and conduct of pediatric pharmacokinetic, efficacy and safety studies;

3

Supporting advocacy efforts at Provincial, Federal, and International Levels.

**Additional services may be provided, as needed.*

ACHIEVEMENTS 2017-2018



1

Operationalize the Centre

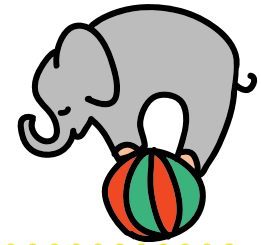
- Goal:** To continue to build the Centre and develop a highly functioning team to serve the GPFC's mission and purpose.
- Strategy:** Contribute to the synchronization and the efficiency of the Centre's team; diversify the Centre's service offerings according to the needs of our partners.

Our Accomplishments

- The GPFC has had its own website since September 2017, a conference banner, infographic and a social media presence (Facebook, Twitter, and LinkedIn) since 2018.
- The GPFC begun an internal communications effort at both the CHU Sainte-Justine Hospital and its Research Centre:
 - a. Appears now on the CHU Sainte-Justine website under the thumbnail Research - Platforms and services - Platforms.
 - b. The GPFC appeared in the monthly *Infolettre* of the CHU Sainte-Justine Research Centre in March 2018.
 - c. The GPFC participated with one half day of presentations for “*La semaine de la Qualité et de l’Innovation*” of the CHU Sainte-Justine where three presentations were made regarding pediatric formulations, two of which were external guest speakers.
 - d. The GPFC presented at the Medical Grand Rounds where healthcare professionals gather monthly to learn more about new subjects of interest.
- The Centre has undergone some transformations and a reorganization in order to get in line with the strategy. As a result, two positions were eliminated, and two others were created: the position of Operations and Communications Advisor and the position of Scientific and Medical Lead who is also a pharmacist with pharmaceutical industry experience. In addition, the GPFC has support to managing our accounting and invoicing who works one day per week for the Centre.
- The GPFC developed a strategic plan which rests on four main pillars.

2

Promoting access to pediatric formulations



- Goal:** Promoting access to commercial pediatric formulations through multiple partnerships with the pharmaceutical industry.
- Strategy:** The first initiative consists of finding pharma partners to develop and promote medicines that the Centre has identified nationally on its priority list. A second initiative is to contribute to developing incentives to entice pharma investment in pediatric formulations by working with key stakeholders.

Our Accomplishments

- In total, these exchanges were held with **22 pharmaceutical companies** over the last year, and **6 confidentiality agreements** were signed. Several potential partnerships are in place with the following companies:
- We continue to work with a pharmaceutical partner who has been collaborating with us since the Centre was first active. This partnership led to the submission of a drug (amlodipine) to Health Canada in March 2018 and the submission of another drug (leviteracetam) will be made in June 2018.
- Two collaboration agreements are in place with pharmaceutical companies for two drugs on the Centre's list of priority drugs. One of the pharmaceutical partners has already stated its interest in investing time and money with the Centre to develop a formulation adapted to children, such as does not exist elsewhere in Canada, in Europe, or in the United States. The second we are awaiting the choice of their medication to develop as well as a financing plan for the project. In both of these projects we expect to receive term sheets for negotiation over the summer.
- A list of priority drugs was first conceived by the CHU-Ste-Justine and was later validated with the help of a census of 13 pediatric hospital centres across the country.
 - The list is divided into three categories according to precise criteria.
 - Technical data files have been completed for 20 targeted drugs.
 - The list of priority drugs was presented to the **DIA** in Ottawa in June 2017, at the international conference of the **EuPFI** in September 2017, to the **AAPS** in November 2017, and to the **ASCPI** in March 2018; it elicited lively interest.
 - A case study was written up pointing out the challenges encountered in terms of reimbursement and regulations for pediatric drugs.
 - Two publications are in progress from this initiative:
 - *Categorization Study*
 - *Pan Canadian Study*

3

Recognition of Expertise & Leadership



Goal: To build further our expertise in the field and to use this growing knowledge to become an internationally recognized leader in improving access to pediatric formulations. We would like to become the go-to resource for pediatric formulations in Canada and be involved in global initiatives in this area.

Strategy: Increase the profile of the Centre externally (conferences, meeting stakeholders, position statements, invited to sit on working committees, etc.). Increasing the profile of the Centre within CHU Sainte-Justine and develop internal champions for each therapeutic area is also a key priority under this pillar. In addition, we will contribute, where possible, to increasing the safety of pediatric medicines in children by using our expertise where it is needed.

Our Accomplishments

The GPFC shone at numerous local and national meetings:

- Main Speaker at The Canadian Meeting of the DIA in Ottawa in June 2017
- Oral presentation, scientific poster and booth at the international EuPFI conference in September 2017
- Oral presentation, scientific banner, booth and meetings during the reunion and the annual exposition of the AAPS in November 2017
- Oral presentation during the annual meeting of the ASCPT in March 2018
- Meeting in Quebec with the Canadian Society of Hospital Pharmacists to present a scientific banner
- Speaker at the Réunion scientifique départementale de pédiatrie at the CHU Sainte-Justine on March 28, 2018

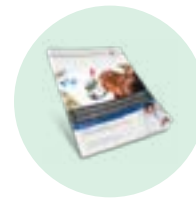


Some new partnerships were founded:

- The Canadian Paediatric Society and the Goodman Pediatric Formulations Centre organized a joint meeting in November 2017, bringing together 21 participants from 10 different organizations. This was a first in terms of bringing together pediatricians, pharmacists, and experts on reimbursement and regulations. The Canadian Paediatric Society and the Goodman Pediatric Formulations Centre are currently drawing up a Policy Paper with the support of the experts and organizations who participated in the meeting. The Policy Paper outlines the challenges and difficulties of bringing pediatric formulations to Canada. It will be presented to Health Canada between now and fall 2018 and will be posted on our Website when completed.
- The GPFC is continuing to gain prestige at the CHU Sainte-Justine among internal champions in the gastroenterology, nephrology, cardiology and neurology fields.

4

Building advocacy for the cause



Goal: To increase awareness and, using our expertise, contribute to shaping the landscape to improve access to pediatric formulations in Canada.

Strategy: Building on two key reports that were published in the last few years, **“Improving Medicines in Canada”** and **“Prescription Medicines in Canada - Off-Label Use”** we are developing a strong alliance with Health Canada to contribute to improving the process by which pediatric medicines are approved in Canada. In addition to working with Health Canada, we are seeking to understand the position and work together with various stakeholders, such as industry associations, to support changes that will attract investment in pediatric formulations in Canada. Acting as a change agent, we will use our team’s expertise (clinical, research, regulatory, etc.) to support initiatives to make the Canadian market a favourable country in which to develop and promote pediatric formulations. by working with key stakeholders.

Our Accomplishments

- Since January 2018, preliminary discussions have been underway with the ACMTS on the process of reimbursement of pediatric formulations.
- The Centre contacted the INESSS’s Drugs Directorate in order to introduce the Centre’s mission and its activities.
- A meeting took place with the Université de Montréal’s Institut universitaire de gériatrie to discuss some similarities between children and the elderly insofar as the administration of drugs is concerned.
- A strategy targeting reimbursement and the government with respect to generic drugs has been developed.
- In partnership with KidsCAN Trials, the GPFC sent a letter to Health Canada that did not support the increasing of the fees related to marketing a drug in pediatrics.
- A response in the form of a letter of support was sent following a consultation with Health Canada regarding a new regulatory pathway for the authorization of the sale of drugs already approved by trusted foreign regulators, in order to facilitate access for Canadians to drugs that meet a healthcare system need.
- We took part in a consultation concerning the renewal of Health Canada’s special access program (SAP).
- We took part in a web survey in order to provide comments from a pediatric point of view about changes that could be made to Health Canada’s Priority Review process.



ACKNOWLEDGMENTS

We are fortunate to have many individuals who are moved by our mandate and who provide to the GPFC their advice, support and expertise in kind. We could not be where we are today without all of these supporters of the GPFC.



ADDENDUM

List of priority drugs

Two letters to Health Canada

LIST OF ACRONYMS

Eupfi: European Paediatric Formulation Initiative

INESSS: Institut National d'excellence en santé et en services sociaux

ACMTS: Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé

AAPS: American Association of Pharmaceutical Scientists

ASCPT: American Society for Clinical Pharmacology & Therapeutics

DIA: Drug Information Association

PMCA: Pediatric Medical and Clinical Assessment

CONTACT PERSON

Andrea Gilpin, General Director

Tel.: 514 435-4931, extension 3655

Website: gpfccanada.com



Merci Thanks!



centre de formulations
pédiatriques

de la famille Resaland et Morris Goodman
du CHU Sainte-Justine



The Resaland & Morris Goodman Family
pediatric formulations
centre
of the CHU Sainte-Justine