

PUBLIÉ LE 07/06/2019 - MIS À JOUR LE 30/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 23 - 26 avril 2019

EUROPE - AVIS DU PDCO

Ce Comité est chargé notamment de l'évaluation des PIPs (Plans d'Investigations Pédiatriques) qui encadrent les programmes de développement en qualité préclinique et clinique des médicaments destinés à la population pédiatrique (de la naissance à 17 ans inclus), ainsi que des dérogations et reports de développement en pédiatrie.

Le PDCO vérifie la réalisation du programme d'études tel que prévu par les PIPs préalablement à toute nouvelle demande d'AMM ou de variation d'AMM (indication, formulation, voie d'administration) conformément au Règlement Européen Pédiatrique.

Le PDCO a rendu au cours de cette session 2 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement des troubles héréditaires de la rétine pour le vecteur lentiviral contenant le gène humain ABCA4
- Traitement de l'hémophilie A pour le vecteur viral adéno-associé de sérotype 5 contenant un variant du gène du facteur VIII de coagulation humain supprimé du domaine B

Le PDCO a adopté 2 opinions de refus de PIP pour :

- Traitement de la douleur postopératoire et de l'inflammation associées à la chirurgie ophtalmique pour le dexamethasone, avec une dérogation complète du PDCO,
- Traitement de l'épidermolyse bulleuse dystrophique pour le virus de l'herpès simplex 1 incompétent pour la réplication et génétiquement modifié, exprimant le collagène VII.

Le PDCO a adopté deux opinions positives révisées de PIP suite aux ré-examens :

- du PIP polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe A conjugué à l'anatoxine tétanique / polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe C conjugué à l'anatoxine tétanique / polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe W conjugué à l'anatoxine tétanique pour la prévention de la méningococcie, EMEA-001930-PIP01-16-M01,
- du PIP Ofatumumab dans le traitement de la sclérose en plaques, EMEA-002397-PIP01-18.

Ont également été octroyées :

- 7 opinions positives et 1 négative sur les demandes de dérogation complète produit-spécifique d'obligation de soumission de données obtenues par des études cliniques en pédiatrie dans une indication (pour des raisons de sécurité ou d'inefficacité, de maladie existant uniquement chez l'adulte, ou d'absence de bénéfice thérapeutique significatif),
- 15 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 8 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d'AMM :
  - Le polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe A conjugué à l'anatoxine tétanique / polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe C conjugué à l'anatoxine tétanique / polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe W conjugué à l'anatoxine tétanique / polysaccharide du *N. meningitidis* sérogroupe Y, EMEA-C-000429-PIP01-08-M04, pour la prévention de la méningococcie,
  - Béclometasone (dipropionate) / formoterol (fumarate dihydrate), EMEA-C-000548-PIP01-09-M08, pour le traitement de l'asthme,

- Turoctocog alfa, EMEA-C-000428-PIP01-08-M03, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur VIII,
- Virus grippal fractionné, inactivé contenant un antigène équivalent à la souche analogue à A / California / 7/2009 (H1N1) (A / California / 7/2009), avec adjuvant, EMEA-C-000669-PIP01-09-M02, pour la prévention de la grippe,
- Sofosbuvir / lédipasvir, EMEA-C-001411-PIP01-12-M04, pour le traitement de l'hépatite C chronique,
- Emicizumab, EMEA-C-001839-PIP01-15, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur VIII,
- Sofosbuvir, EMEA-C-001276-PIP01-12-M02, pour le traitement de l'hépatite C chronique,
- Anidulafungin, EMEA-C-000469-PIP01-08-M07, pour le traitement de la candidose invasive.

Les PIPs sont obligatoires :

- avant **toute nouvelle demande d'AMM**, nationale ou européenne (centralisée, décentralisée ou en reconnaissance mutuelle) pour une spécialité pharmaceutique,
- avant toute demande de **modification d'AMM** relative à une nouvelle indication, une nouvelle forme pharmaceutique ou une nouvelle voie d'administration pour des spécialités déjà autorisées mais protégées,
- lors d'une demande d'un « **paediatric-use marketing autorisation** » (PUMA), en vue d'un usage pédiatrique exclusif (indication, dosage, forme pharmaceutique ou voie d'administration appropriée) pour d'anciens médicaments non protégés par un brevet, afin de répondre à des besoins pédiatriques (et éviter l'utilisation hors-AMM).

Les médicaments pédiatriques bénéficient de mesures d'incitation spécifiques qui sont obtenues après vérification de la conformité de réalisation des études et mesures décidées dans le cadre du PIP approuvé par le PDCO, et sous condition d'avoir toute information pédiatrique dûment mentionnée dans le Résumé Caractéristique Produit, ainsi qu'une mise sur le marché du médicament dans l'Union Européenne.