

PUBLIÉ LE 03/12/2018 - MIS À JOUR LE 15/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunions du 21-24 août et du 18-21 Septembre 2018

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 ces deux sessions des avis favorables révisés de PIPs, après ré-examen, dans les indications suivantes :

- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour la combinaison fixe darunavir / cobicistat / emtricitabine / tenofovir alafenamide,
- Traitement de la pochite pour l'alicaforsen.

Ont également été octroyés :

- En août : 11 opinions positives et 1 refus de 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),
- En septembre **:** 1 opinion positive de modification de PIP avalisé et en cours de réalisation,
- En septembre **:** 1 opinion préconisant la révision d'une dérogation complète accordée,
- En septembre : 3 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, précédant la demande d'AMM :
  - Paclitaxel, EMEA-C-001308-PIP01-12-M02, pour le traitement des tumeurs malignes solides,
  - Immunoglobuline humaine normale, EMEA-C-001797-PIP01-15-M01, pour le traitement de l'immunodéficience primaire,
  - Glycérol phénylbutyrate, EMEA-C-000297-PIP02-12-M02, pour le traitement des troubles du cycle de l'urée.

À savoir

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.