

PUBLIÉ LE 17/09/2018 - MIS À JOUR LE 15/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l’Agence européenne des médicaments (EMA) - Réunion du 24 au 27 juillet 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 cette session**17 avis favorables de PIPs, dans les indications suivantes :**

- Traitement de la maladie de Crohn, traitement du psoriasis et traitement de la colite ulcéreuse pour le mirikizumab
- Traitement du syndrome de détresse respiratoire aiguë (SDRA) pour l’interféron bêta-1a
- Prévention des maladies des voies respiratoires inférieures causées par le virus respiratoire syncytial (VRS) pour le vaccin monovalent, recombinant, vecteur pour l’adénovirus du sérotype 26, incompétent pour la réplication, codant pour la protéine F, stabilisée par conformation pré-fusion, dérivée de la souche VRS A2
- Traitement d'ostéochondromes multiples pour le palovarotene
- Traitement de toutes les affections comprises dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes du système nerveux central, hématopoïétiques et des tissus lymphoïdes) pour l’entrectinib
- Prévention de la perte auditive ototoxique induite par le platine pour le sodium thiosulfate (STS)
- Traitement de la maladie de Crohn et le traitement de la colite ulcéreuse pour l’anticorps anti-muqueuse molécule d'adhérence cellulaire
- Traitement de la leucémie myéloïde aiguë pour l’ivosidenib
- Traitement de l'atrophie musculaire spinale pour l’onasemnogenum abeparvovecum
- Traitement du syndrome de Rett pour le sarizotan (hydrochloride)
- Traitement de la dermatite atopique pour le baricitinib
- Traitement des maladies du cartilage pour les chondrocytes cultivés autologues provenant du cartilage
- Traitement de la maladie de Farber pour la céramidase acide humaine recombinante
- Traitement de toutes les conditions incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes du système nerveux central, hématopoïétiques et des tissus lymphoïdes) et le traitement des néoplasmes malins du système nerveux central pour l’afatinib
- Traitement dans la transplantation de cellules souches hématopoïétiques chez les patients avec syndrome d'immunodéficience combiné sévère (SCID), qui ont été traités ex vivo avec la protéine de transduction du domaine du VIH-1 protéine de transactivation fusionnée au facteur de transcription MYC, pour les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques du donneur humain (HSPC)
- Traitement du cholestérol élevé pour l’inclisiran (sodium)
- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour l’ibalizumab.

Ont également été octroyés :

- 11 opinions positives et 2 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),
- 27 opinions positives, 1 opinion révisée positive et 1 opinion négative, de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 6 retraits de dossiers PIPs en phases ultérieures d'évaluation,
- 1 vérification positive de réalisation complète des études du PIP, précédant la demande d'AMM :
  - Lacosamide, EMEA-C-000402-PIP02-11-M05, pour le traitement de l'épilepsie focale.

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.