

PUBLIÉ LE 22/03/2018 - 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 20-23 février 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 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 5 avis favorables de PIPs, dans les indications suivantes :

- Traitement de l'asthme pour le févipiprant,
- Prévention de la grippe pour les hémagglutinines H1/ H3 / de la souche B lignée Victoria / de la souche B lignée Yamagata (exprimée en particules pseudo-virales [VLP]) du virus de la grippe,
- Traitement du myélome multiple et traitement des tumeurs malignes lymphoïdes (à l'exclusion du myélome multiple) pour l'ixazomib,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour l'acide obéticholique,
- Traitement des infections des voies urinaires compliquées et traitement des infections dues aux *Enterobacteriaceae* pour le plazomicine (sulfate),

Ainsi qu'une opinion positive suite à un ré-examen de PIP :

- Traitement de la leucémie myéloïde aiguë, de la mastocytose maligne et de la leucémie à mastocytes, pour la midostaurine.

Ont également été octroyés :

- 6 opinions positives de dérogation complète produit-spécifique de soumission de données obtenues par des études cliniques en pédiatrie,
- 19 opinions positives et 1 opinion négative pour des modifications de PIPs en cours de réalisation,
- 4 retraits de dossiers PIPs en phases ultérieures d'évaluation,
- 2 vérifications de réalisations complètes positives de PIPs,
  - Dasatinib, EMEA-C-000567-PIP01-09-M05, pour le traitement de la leucémie aiguë lymphoblastique - chromosome Philadelphie (translocation BCR-ABL) positive et du traitement de la leucémie myéloïde chronique - chromosome Philadelphie (translocation BCR-ABL) positive,
  - Tocilizumab, EMEA-C-000309-PIP01-08-M07, pour le traitement de l'arthrite chronique idiopathique (y compris la polyarthrite rhumatoïde, la spondylarthrite ankylosante, l'arthrite psoriasique et l'arthrite juvénile).

Les PIPs sont obligatoires :

- avant toute nouvelle demande d'AMM, européenne (centralisée, décentralisée ou en reconnaissance mutuelle), ou nationale 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 des Caractéristiques du Produit, ainsi qu'une mise sur le marché du médicament dans l'Union Européenne.