

PUBLIÉ LE 31/03/2021 - MIS À JOUR LE 22/04/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 26 – 29 janvier 2021

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 pédi1atrie.

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 16 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Prévention de la maladie à coronavirus 2019 (COVID-19) pour le vaccin COVID-19 Ad26.COV2-S (recombinant),
- Traitement de la maladie à coronavirus 2019 (COVID-19) pour le baricitinib,
- Traitement du lupus érythémateux disséminé pour le sécukinumab,
- Traitement de la leucémie myéloïde aiguë et traitement des syndromes myélodysplasiques, y compris la leucémie myélomonocytaire juvénile, pour l'imetelstat,
- Traitement du trouble dépressif majeur pour le seltorexant,
- Prévention et traitement du rejet de greffe d'organe pour le tacrolimus,
- Traitement du lupus érythémateux disséminé pour le rozibafusp alfa,
- Traitement des migraines pour le rimégépant,
- Traitement du lupus érythémateux disséminé pour le télitacicept,
- Traitement de la rétinite pigmentaire pour l'acide désoxyribonucléique monocaténaire linéaire (codant pour le régulateur GTPase de la rétinite pigmentaire humaine [RPGR]) conditionné dans une capside de protéine virale adéno-associée recombinante de sérotype 5 (AAV5-hRKp.RPGR),
- Traitement de l'hidrosadénite pour le bimékizumab,
- Traitement du syndrome hémolytique et urémique atypique et traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour le crovalimab,
- Traitement de la dermatite et de l'eczéma pour le delgocitinib,
- Prévention des maladies des voies respiratoires inférieures associées au VRS grâce à la vaccination maternelle pour la protéine de fusion recombinante PreF3 du virus respiratoire syncytial (RSV),
- Traitement de l'hyperplasie surrénale congénitale pour le crinecerfont,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique (NASH) pour le (S) -2- (5 - ((3-éthoxypyridin-2-yl) oxy) pyridin-3-yl) - N- (tétrahydrofurane 3 yl) pyrimidine-5-carboxamide (PF-06865571).

Ainsi qu'une opinion de refus de PIP :

- Traitement de la rhinosinusite chronique pour le dupilumab

Ont été octroyées :

- 10 opinions positives de demande 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),
- 38 opinions positives et 1 opinion négative de modifications de PIPs en cours de réalisation,

1 vérification positive de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d’AMM) :

- Corifollitropin alfa, EMEA-C-000306-PIP01-08-M04, pour le traitement de l'hypogonadisme hypogonadotrophique.

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.