

PUBLIÉ LE 07/05/2021 - MIS À JOUR LE 04/06/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 23-26 février 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 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 11 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de pelades (« alopecia areata ») pour le ritlecitinib,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des tumeurs du système nerveux central et des néoplasmes myéloïdes) et le traitement des néoplasmes malins du tissu hématopoïétique et lymphoïde pour le surufatinib,
- Traitement du syndrome de l'ovaire polykystique pour pioglitazone (hydrochloride) / spironolactone / metformine (hydrochloride),
- Traitement de la myasthénie grave pour le zilucoplan,
- Traitement de la maladie de Canavan pour le vecteur recombinant non réplicatif et auto-complémentaire, basé sur le virus adéno-associé de sérotype 9 (AAV9), contenant une cassette d'expression pour le transgène ASPA humain (scAAV9-CB6-hASPAopt),
- Prévention de la maladie du chikungunya grâce au vaccin à base de pseudoparticules virales du Chikungunya,
- Traitement de l'urticaire chronique spontanée pour le dupilumab,
- Traitement de la maladie de Niemann Pick de type C pour l'hydroxypropyl-β-cyclodextrin,
- Traitement du vitiligo pour le ruxolitinib,
- Traitement de l'amaurose congénitale de Leber pour le sepofarsen,
- Prévention de la maladie à coronavirus 2019 (COVID-19) pour le vaccin nanoparticulaire à base de protéine de spicule recombinante du coronavirus 2 du syndrome respiratoire aigu sévère (SARS-CoV-2 rS) / adjuvant de matrice-M1 (Novavax).

Ont été octroyées :

- 15 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),
- 19 opinions positives de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- **2 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP** (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Cerliponase alfa, EMEA-C-001362-PIP01-12-M03, pour le traitement de la céroïde-lipofuscinose neuronale de type 2 (NCL2),
  - Sofosbuvir / Velpatasvir, EMEA-C-001646-PIP01-14-M02, pour le traitement de l'hépatite C chronique.

À retenir

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.