

PUBLIÉ LE 26/05/2021 - MIS À JOUR LE 18/06/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 23-26 mars 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 4 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du syndrome de Crigler-Najjar pour le RAAV8 vecteur viral codant le transgène humain UGT1A1 (rAAV8-hUGT1A1),
- Traitement de la pochite pour le védolizumab,
- Prévention de la neutropénie fébrile induite par la chimiothérapie et le traitement de la neutropénie induite par la chimiothérapie pour le pegfilgrastim,
- Prévention des maladies des voies respiratoires inférieures causées par le virus respiratoire syncytial via l'immunisation maternelle, pour le vaccin à sous-unité F de préfusion stabilisée du virus respiratoire syncytial (RSVpreF).

Ont été octroyées :

- 7 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),
- 1 opinion négative de demande de dérogation,
- 25 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) :
  - Téduglutide, EMEA-C-000482-PIP01-08-M06, pour le traitement du syndrome de l'intestin court,
  - Simoctocog alfa, EMEA-C-001024-PIP01-10-M02, pour le traitement de l'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII).

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.