

PUBLIÉ LE 10/08/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l’Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 18-21 mai 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 12 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement des cardiopathies fonctionnelles à ventricule unique avec connexion cavo-pulmonaire totale pour le macitentan,
- Traitement de l'insuffisance cardiaque pour le finerenone,
- Traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire pour le ralinepag,
- Traitement de l'épidermolyse bulleuse pour les cellules souches mésenchymateuses allogéniques dérivées de la peau ABCB5-positive,
- Traitement de la maladie de stockage du glycogène de type 1a pour le vecteur viral adéno-associé de sérotype 8 contenant le gène de la glucose-6-phosphatase humaine (DTX401),
- Traitement de l'atrésie biliaire pour le maralixibat (chloride),
- Traitement du syndrome d'Alagille pour l’odevixibat,
- Traitement des troubles inflammatoires gastro-intestinaux éosinophiles pour l’anticorps monoclonal recombinant contre la lectine 8 de type Ig se liant à l'acide sialique,
- Prévention ou traitement de COVID-19 pour le cilgavimab (AZD1061),
- Prévention ou traitement de COVID-19 pour le tixagevimab (AZD8895),
- Traitement des néoplasmes thyroïdiens pour le pralsétinib,
- Traitement de la maladie rénale chronique pour les cellules rénales sélectionnées autologues.

Ont été octroyées :

- 11 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 précisée (pour des raisons de sécurité ou d’inefficacité, de maladie existant uniquement chez l’adulte, ou d’absence de bénéfice thérapeutique significatif),
- 22 opinions positives 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) :
  - Exenatide, EMEA-C-000689-PIP01-09-M11, pour le traitement du diabète sucré de type 2

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.

Consulter le communiqué du PDCO sur le site de l'EMA