

PUBLIÉ LE 26/11/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 22-25 juin 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 13 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de la dermatite atopique pour l'anticorps monoclonal IgG1k humain, recombinant et non fucosylé ciblant le récepteur OX-40 sur lymphocytes T activés (KHK4083),
- Traitement de l'achondroplasie;pour l'infigratinib,
- Traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour le 1R,3S,5R)-2-(2-(3-acetyl-5-(2-methylpyrimidin-5-yl)-1H-indazol-1-yl)acetyl)-N-(6-bromo-3-methylpyridin-2-yl)-5-methyl-2-azabicyclo[3.1.0] hexane-3-carboxamide,
- Traitement de la sclérose en plaques pour le fenebrutinib,
- Traitement du lupus érythémateux disséminé pour le deucravacitinib,
- Traitement des infections urinaires compliquées pour le céfépime/zidebactam,
- Traitement de la maladie mitochondriale pour le vatiquinone,
- Traitement de la sclérose en plaques pour l'ublituximab,
- Traitement des sarcomes des tissus mous pour l'afamitresgene autoleucel,
- Traitement des leucémie / lymphome b-lymphoblastique et traitement des néoplasmes matures à cellules B pour les cellules allogéniques anti-CD19 CAR T produites à l'aide de CRISPR/Cas9 interférant sur le récepteur alpha constant des cellules T (TRAC) et le locus génomique de la β2-microglobuline (B2M) avec un vecteur viral adéno-associé recombinant pour fournir le modèle de donneur pour l'insertion de la cassette d'expression anti-CD19 CAR dans le locus du TRAC,
- Traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour l'iptacopan,
- Traitement du syndrome d'Alport pour le bardoxolone (méthyl),
- Traitement de la dysplasie hypo-hidrotique neuro-ectodermique liée à l'X pour l'immunoglobuline humaine G1 de région constante de l'ectodysplasine humaine A1– domaine de liaison des récepteurs de protéine de fusion (ER004).

Ont été octroyées :

- 12 avis positifs et 1 avis négatif 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),
- 30 avis positifs de modifications de PIPs en cours de réalisation, et 1 avis de dérogation complète de développement en remplacement d'un PIP.

- 8 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Enalapril maléate, EMEA-C-001706-PIP01-14-M03, pour le traitement de l'insuffisance cardiaque,
  - Ticagrélor, EMEA-C-000480-PIP01-08-M14, pour la prévention des événements thromboemboliques,
  - Sécukinumab, EMEA-C-000380-PIP02-09-M04, pour le traitement de l'arthrite idiopathique chronique (y compris l'arthrite rhumatoïde, la spondylarthrite, l'arthrite psoriasique et l'arthrite juvénile idiopathique),
  - Elvitegravir / cobicistat / emtricitabine / ténofovir alafenamide, EMEA-C-001460-PIP01-13-M05, pour le traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1),
  - Brentuximab védotin, EMEA-C-000980-PIP01-10-M07, pour le traitement du lymphome hodgkinien et du lymphome anaplasique à grandes cellules,
  - Ceftolozane / Tazobactam, EMEA-C-001142-PIP01-11-M04, pour le traitement de l'infection urinaire et traitement des infections intra-abdominales,
  - Cobimetinib, EMEA-C-001425-PIP01-13-M05, pour le traitement des néoplasmes malins (sauf les tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) avec activation des voies Ras, Raf ou MEK;
  - Diméthyl fumarate, EMEA-C-000832-PIP01-10-M05, pour le traitement de la sclérose en plaques.

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.