

PUBLIÉ LE 23/12/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 20-23 juillet 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 15 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de l'œsophagite à éosinophiles pour le benralizumab,
- Traitement de l'œsophagite à éosinophiles pour le cendakimab,
- Traitements des hémophilies congénitales A et B pour le concizumab,
- Traitement de la maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19) pour le tocilizumab,
- Traitement de la pelade pour le baricitinib,
- Traitement des néoplasmes matures à cellules B pour l'epcoritamab,
- Traitement pour la myopathie des ceintures pour le ribitol,
- Traitement de l'allergie alimentaire pour le ligélizumab,
- Traitement de l'épanchement pleural pour l'activateur du plasminogène urokinase à chaîne unique (scuPA),
- Traitement de la dyskinésie ciliaire primaire (PCD) pour la solution de chlorure de sodium à 4,2 % (p/v) / 3,5-diamino-6-chloro-N-(N-(4-(4-(2-(hexyl((((2S,3R,4R,5R)). 2,3,4,5,6-pentahydroxyhexyl)amino)ethoxy)phenyl)butyl)-carbamimidoyl)pyrazine-2-carboxamide,
- Prévention des maladies causées par le Streptococcus pneumoniae pour le polysaccharidique pneumococcique multivalent conjugué à la protéine porteuse,
- Traitement et prévention de la maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19) pour le casirivimab (REGN10933),
- Traitement et prévention de la maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19) pour l'imdévimab (REGN10987),
- Traitement de la myasthénie grave pour l'efgartigimod alfa,
- Prévention de la dysplasie bronchopulmonaire pour l'azithromycine.

Ont été octroyées :

- 9 avis positifs 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),
- 35 avis positifs de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- **3 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP** (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Tadalafil, EMEA-C-000452-PIP02-10-M06, pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire,

- Octocog alfa, EMEA-C-001064-PIP01-10-M03, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur VIII,
- Turoctocog alfa pegol - EMEA-C-001174-PIP02-12-M02, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur VIII.

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.