

PUBLIÉ LE 10/03/2022 - MIS À JOUR LE 29/03/2022

# Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l’Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 12-15 octobre 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 10 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :**

- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour le peptide dérivé du glucagon-like-peptide 1 et du glucagon avec une chaine latérale d’acide gras (BI 456906),
- Traitement de l’hémophilie A pour le marzeptacog alfa (activé),
- Traitement de l’hémophilie B pour le marzeptacog alfa (activé),
- Traitement de la myasthénie gravis pour le satralizumab,
- Traitement du trouble du spectre de la neuromyélite optique pour le ravulizumab,
- Traitement des leucémies myéloïdes aiguës et des syndromes myélodysplasiques (y compris la leucémie myélomonocytaire juvénile) pour le magrolimab,
- Traitement des tumeurs neuroendocrines gastro-entéro-pancréatiques pour lutécium (177Lu) oxodotréotide,
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour l’oligonucléotide anti-sens 2'-O-(2-méthoxyéthyl) phosphorothioate ciblant l'ARN CD49d (ATL1102),
- Traitement de la schizophrénie pour l’événamide,
- Prévention de la maladie à méningocoques pour une substance active à base de protéine du sérogroupe B de Neisseria meningitidis / protéines recombinantes du sérogroupe B de Neisseria meningitidis 1 / 3 / 2.

**Le PDCO a rendu au cours de cette session 1 avis défavorable de PIP dans l’indication suivante :**

- Traitement de l'immunodéficience primaire pour une immunoglobuline humaine normale.

**Ont été octroyées :**

- 12 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),
- 37 avis positifs de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- 4 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d’AMM) :
  - Dolutégravir, EMEA-C-000409-PIP01-08-M06, pour le traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1),
  - Oseltamivir (phosphate), EMEA-C-000365-PIP01-08-M12, pour le traitement et la prévention de la grippe,
  - Aflibercept, EMEA-C-000236-PIP05-18, pour le traitement de la rétinopathie du prématuré,
  - Fosdénoptérine, EMEA-C-001491-PIP01-13-M01, pour le traitement de la déficience en cofacteur de molybdène

de type A.

**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.