

PUBLIÉ LE 14/04/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 9-12 novembre 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 9 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de la drépanocytose pour les cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues avec une région d'amplification érythroïde modifiée par CRISPR du gène BCL11A,
- Traitement de la béta-thalassémie intermédiaire ou majeure pour des cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues avec une région d'amplification érythroïde modifiée par CRISPR du gène BCL11A,
- Traitement du syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée (P13Kδ) pour le Leniolisib,
- Traitement de la bactériémie à Staphylococcus aureus pour l'Exabacase,
- Traitement de la pneumonie à Staphylococcus aureus pour le Tosatoxumab,
- Traitement de l'ataxie de Friedreich pour le Vatiquinone,
- Traitement de la maladie d'Alexander pour l'oligonucléotide antisens modifié 2'-O-(2-méthoxyéthyle) ciblant le pré-ARNm de la protéine de l'acide fibrillaire glial (ION373),
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (sauf les néoplasmes hématopoïétiques) pour le Répotrectinib,
- Prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour le Molnupiravir.

Le PDCO au cours de cette session a rendu un avis défavorable de PIP :

- Traitement de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour le Plitidepsin (avec dérogation complète de développement pédiatrique octroyée par le PDCO).

Le PDCO au cours de cette session a rendu deux avis suivant deux re-examinations de PIP :

- Prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour l'ARN messager (ARNm) simple brin coiffé de 5' produit à l'aide d'une transcription in vitro sans cellule à partir des modèles d'ADN correspondants, codant pour la protéine de pointe virale (S) du SRAS-CoV-2 (Moderna, EMEA-002893-PIP01-20-M01), for the prevention of coronavirus disease 2019 (COVID-19) : avis favorable
- Evaluation diagnostique des lésions hépatiques focales pour le perflubutane : avis défavorable.

Ont été octroyées :

- 4 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),
- 20 avis positifs de modifications de PIPs en cours de réalisation.

A 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.