

PUBLIÉ LE 14/04/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 14-17 décembre 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 16 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement des cardiomyopathies hypertrophiques pour l'Aficamten,
- Traitement du psoriasis pour une souche unique non génétiquement modifiée de Prevotella histicola,
- Traitement de l'hirsutisme associé au syndrome des ovaires polykystiques pour l'Ethinylestradiol / Diénogest,
- Traitement de l'hypoparathyroïdisme pour le Poly(oxy-1,2-ethanediyl), alpha-hydro-oméga-méthoxy, éther avec N-[[[2-[[6-[[1-[3-[[3-(2,3-dihydroxypropoxy)propyl]amino]-3-oxopropyl]-2,5-dioxo-3-pyrrolidinyl]thio]hexyle]amino]éthyl]amino]carbonyl]-2-methylalanyl-teriparatide (2:1) (TransCon PTH),
- Traitement de l'hyperplasie congénitale des surrénales pour le Tildacerfont,
- Traitement de la fibrodysplasie ossifiante progressive pour le 2-Amino-N-(4-hydroxybicyclo[2.2.2]octan-1-yl)-5-(4-((1R,5S)-3- (tetrahydro-2H-pyran-4-yl)-3-azabicyclo[3.1.0]hexan-1- yl)phényl)nicotinamide fumarate dihydrate (INCB000928),
- Traitement des gastrites et gastroentérites éosinophiliques pour le Benralizumab,
- Traitement de la maladie de Crohn pour l'Izencitinib,
- Traitement du syndrome hyperéosinophilique (SHE) pour le Benralizumab,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (sauf hématopoïétique et néoplasmes tissulaires lymphoïdes) pour l'Alectinib,
- Traitement des neuroblastomes pour le Ribociclib,
- Traitement des gliomes de bas grades pour le Vorasidénib,
- Traitement des sarcomes des tissus mous pour le Nirogacestat hydrobromate,
- Prévention des infections causées par le pathogène extra-intestinal Escherichia coli, (ExPEC) pour le ExPEC9V,
- Traitement et prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour le (1R,2S,5S)-N-((1S)-1-Cyano-2-((3S)-2-oxopyrrolidin-3-yl)éthyle)-3-((2S)-3,3-diméthyle-2-(2,2,2-trifluoroacetamido)butanoyle)-6,6-diméthyle-3-azabicyclo[3.1.0]hexane-2-carboxamide,
- Traitement de la maladie rénale chronique pour le dérivé du 6-[2-(pyridine-2-yl)phénoxy]méthyl}-1,2,3,4-tetrahydroisoquinoline.

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

- Traitement du diabète de type 2 pour l'insuline efsitora alpha (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 :

- Traitement de l'hyperhidrose pour le glycopyrronium bromide : avis favorable,
- Traitement de la neuromyélite optique (NMO) pour le ravulizumab : avis défavorable.

Ont été octroyées :

- 7 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),
- 18 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) :
  - Siméticone / Macrogol 4000 / Chlorure de potassium / Sulfate de sodium, anhydre / Chlorure de sodium / Acide citrique, anhydre / Citrate de sodium, EMEA-C-001356-PIP02-12-M04, pour le lavage intestinal avant les procédures cliniques,
  - Peramivir, EMEA-C-001856-PIP02-16-M02, pour le traitement de la grippe,
  - Polysaccharide pneumococcique de sérotype 1 - diphtérie CRM197 conjugué / polysaccharide pneumococcique de sérotype 3 / 4 / 5 / 6A / 6B / 7F / 9V / 14 / 18C / 19A / 19F / 22F / 23F - diphtérie CRM197 conjugué / polysaccharide pneumococcique de sérotype 33F - conjugué diphtérie CRM197 (15- valent du vaccin conjugué polysaccharide pneumococcique [V114]), EMEA-C-002215-PIP01-17-M03, pour la prévention de la maladie causée par le Streptococcus pneumoniae

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.