

PUBLIÉ LE 14/04/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 18-21 janvier 2022

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 13 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du psoriasis pour des esters phospholipidiques des oeufs de hareng (HRO350),
- Traitement de la thrombocytopénie immunitaire pour l'Efgartigimod alpha,
- Traitement du lupus érythémateux pour l'anticorps monoclonal humanisé recombinant (BIIB059) des anti-antigène 2 de cellules dendritiques sanguines (BDCA2),
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour le Givinostat,
- Traitement de la maladie de Niemman-Pick de type C pour l'Acétyl-L-leucine ((s)-(acétylamino)-4-acide méthylpentanoïque),
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour le Viltolarsen,
- Traitement des néoplasmes de cellules B matures pour le Zamtocabtagène autoleucel,
- Traitement de la mucoviscidose pour le Deutivacaftor / Tezacaftor / (14S)-8-[3-(2-{dispiro[2.0.2^(4).1^(3)]heptane-7-yl}éthoxy)-1H-pyrazole-1-yl]-12,12-diméthyle-2lambda^(6)-thia-3,9,11,18,23-penta-azatetracyclo[17.3.1.1^(11,14).0^(5,10)]tetracosa-1(22),5,7,9,19(23),20-hexaene-2,2,4-trione sel de calcium hydraté,
- Traitement du trouble dépressif majeur pour le dérivé du Pyrrole-Hydroxyéthylpyridine-3-ol (MIJ821),
- Traitement de la schizophrénie pour le Ralmitaront,
- Traitement de l'insuffisance rénale avec carence en carnitine pour le L-carnitine / glucose / chlorure de calcium dihydraté / chlorure de magnésium hexahydraté / lactate de sodium / chlorure de sodium,
- Prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour le vaccin recombinant SRAS-CoV-2 de la sous-unité de la protéine trimérique Spike (S) du avec adjuvant CpG 1018/Alum (SCB-2019),
- Contre la maladie invasive causée par Neisseria meningitidis des sérogroupes fHbp sous-famille B / A, , Neisseria meningitidis des groupes Y / W-135 / C / A polysaccharide conjugué à la protéine porteuse de l'anatoxine tétanique, à partir de l'âge de 2 mois. .

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),
- 29 avis positifs et 1 avis négatif de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- 2 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d'AMM) :

- Nivolumab, EMEA-C-001407-PIP01-12-M03, pour le traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (excepté du système nerveux et des tissus hématopoïétique et lymphoïde),
- Albutrepenonacog alpha, EMEA-C-001107-PIP01-10-M04, pour le traitement de la déficience héréditaire en facteur IX.

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.