

PUBLIÉ LE 14/04/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 22-25 février 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 11 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Prévention et traitement des évènements thromboemboliques pour l'Abélacimab,
- Traitement de l'urticaire chronique inductible au froid pour le Dupilumab,
- Traitement de la thrombocytopénie immunitaire pour le Rozanolixizumab,
- Traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour le dérivé benzylamine du benzofurane (BCX9930),
- Traitement des AVC ischémiques pour l'Invimestrocel,
- Traitement du syndrome d'Aicardi-Goutières, pour le Censavudine,
- Traitement des sarcomes d'Ewing et traitement des sarcomes des tissus mous pour le Catequentinib,
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour le Pamrevlumab,
- Traitement des mucopolysaccharidoses de type I, syndrome de Hurler pour les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (HSPC) CD34+ autologues génétiquement modifiées par le vecteur lentiviral IDUA LLV, codant pour le gène humain (OTL-203) de l'α-L-iduronidase (IDUA),
- Contre la grippe due à un virus zoonotique ou pandémique identifié pour l'antigène de surface du virus de l'influenza (hémagglutinine et neuraminidase) de la souche A/H5N1,
- Contre la grippe due à un virus zoonotique ou pandémique identifié pour le virus de l'influenza A/turquie/turquie/1/2005 (H5N1) de la souche NIBRG-23.

Le PDCO au cours de cette session a rendu un avis suivant une re-examination de PIP :

- Traitement de l'insuffisance rénale avec déficit en carnitine pour le L-carnitine / Glucose / Chlorure de calcium dihydraté / Chlorure de magnésium hexahydraté / Lactate de sodium / Chlorure de sodium : avis favorable.

Ont été octroyées :

- 8 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),
- 27 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) :
  - Dupilumab, EMEA-C-001501-PIP01-13-M07, pour le traitement des dermatites atopiques,
  - Ibrutinib, EMEA-C-001397-PIP03-14-M06, pour le traitement des néoplasmes des cellules B matures,
  - Eribulin, EMEA-C-001261-PIP01-11-M07, pour le traitement des sarcomes des tissus mous.

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.