

PUBLIÉ LE 11/07/2022 - MIS À JOUR LE 25/07/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 22-25 mars 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 8 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du déficit en hormone de croissance pour l'ibutamorène mésylate,
- Traitement de la maladie des inclusions microvillositaires pour le gluconate de zinc / alisitol / palmitate de rétinyle,
- Traitement de l'obésité pour le dérivé peptidique du glucagon-like peptide-1 et du glucagon avec une chaîne latérale d'acide gras (BI 456906),
- Traitement de la thalassémie pour le mitapivat,
- Traitement de l'arthrite idiopathique chronique (incluant la polyarthrite rhumatoïde, le rhumatisme psoriasique, la spondylarthrite ankylosante et l'arthrite idiopathique juvénile), pour le deucravacitinib,
- Traitement de la gangliosidose à GM1, pour le vecteur viral adéno-associé de sérotype rh.10 exprimant la bêta-galactosidase,
- Prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour la particule virus-like de la protéine spike du SARS-Cov2 ((recombinant, adjuvant) (CoVLP),
- Prévention de la maladie du coronavirus 2019 (COVID-19) pour le virus du SARS-CoV-2 inactivé par la bêta-propiolactone.

Ont été octroyés :

- 13 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),
- 19 avis positifs et 1 avis négatif de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- 1 vérification positive de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Tréosulfan, EMEA-C-000883-PIP01-10-M05, pour le traitement avant une transplantation de cellules progénitrices hématopoïétiques.

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.