

PUBLIÉ LE 16/02/2021 - MIS À JOUR LE 09/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) - Réunion du 8-11 décembre 2020

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 pédi1atrie.

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 14 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes

- Traitement de la sclérose latérale amyotrophique pour l'arimoclomol (citrate),
- Traitement des néoplasmes matures à cellules B pour les cellules T périphériques autologues de sang CD4- et CD8- sélectionnés et CD3- et CD28- activés transduites avec le vecteur rétroviral exprimant le récepteur chimérique d'antigène anti-CD19 CD28/CD3-zeta et cultivé (KTE-X19),
- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour le lénacapavir,
- Traitement de la maladie rénale chronique pour l'allopurinol / le vérinurad,
- Traitement du trouble dépressif majeur pour l'eskétamine (hydrochloride),
- Prévention de la dysplasie bronchopulmonaire pour le rétinol (vitamine A),
- Traitement de la leucémie lymphoblastique aiguë pour le carfilzomib,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes hématopoïétiques et lymphoïdes), pour les lymphocytes autologues infiltrant les tumeurs (LN-144/LN-145),
- Traitement des chaînes respiratoires mitochondriales / défauts de phosphorylation oxydatif pour le (S)-6-hydroxy-2,5,7,8-tetramethyl-N-((R)-piperidin-3-yl)chroman-2-carboxamide hydrochlorure (KH176),
- Traitement du lupus systémique érythémateux pour l'obinutuzumab,
- Traitement de la néphropathie IgA pour le sparsentan,
- Traitement du trouble bipolaire et traitement de la schizophrénie pour la dexmédétomidine (hydrochloride),
- Traitement de la sclérose glomérulaire segmentaire focale pour le sparsentan,
- Traitement de la colite ulcéreuse pour le 3-((1R,3s,5S)-3-((7-((5-methyl-1H-pyrazol-3-yl)amino)-1,6-naphthyridin-5-yl)amino)-8-azabicyclo[3.2.1]octan-8-yl)propanenitrile (TD-1473).

Ainsi qu'une opinion de PIP après réexamination

- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour le vecteur viral adéno-associé (AAV) de sérotype 9 contenant le gène humain de mini-dystrophine (PF-06939926).

Ont été octroyées

- 13 opinions positives de demande de dérogation complète produit-spécifique d'obligation de soumission de données obtenues par des études cliniques en pédiatrie dans une indication (pour des raisons de sécurité ou d'inefficacité, de maladie existant uniquement chez l'adulte, ou d'absence de bénéfice thérapeutique significatif),

- 29 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 4 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Elbasvir / grazoprevir, EMEA-C-001604-PIP01-13-M03, pour le traitement de l'hépatite C chronique,
  - Idursulfase, EMEA-C-000294-PIP02-12-M01, pour le traitement de mucopolysaccharidosis II (syndrome de Hunter),
  - Dapagliflozin, EMEA-C-001604-PIP01-13-M03, pour le traitement du diabète sucré de type 2,
  - Riociguat, EMEA-C-000718-PIP01-09-M06, pour le traitement de l'hypertension pulmonaire

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.