

PUBLIÉ LE 18/12/2020 - 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 10-13 novembre 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 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 9 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :**

- Traitement de la drépanocytose pour olinciguat,
- Traitement du trouble lymphoprolifératif en post-transplantation associé au virus d'Epstein-Barr pour tabelecleucel,
- Traitement de la polykystose rénale autosomique dominante pour venglustat,
- Prévention des infections des voies respiratoires inférieures causées par le virus respiratoire syncytial;  pour l'anticorps monoclonal IgG1 RB-1 YTE entièrement humain anti-RSV F (MK-1654),
- Traitement de la drépanocytose pour voxelotor,
- Traitement de la rectocolite hémorragique pour étrasimod L-arginine,
- Traitement du gliome pédiatrique de bas grade pour R)-2-(1-(6-Amino-5-chloropyrimidine-4- carboxamido)ethyl)-N-(5-chloro-4-(trifluoromethyl)pyridin- 2-yl)thiazole-5-carboxamide,
- Traitement de l'hémophilie B pour étranacogene dezaparvovec,
- Traitement des infections dues aux organismes du complexe Acinetobacter baumannii-calcoaceticus pour sulbactam / durlobactam,

**Ainsi qu'une opinion de refus de PIP pour :**

- Traitement de la rétinite pigmentaire pour l'acide docosahexaénoïque.

**Ont été octroyées :**

- 9 opinions positives et 2 négatives 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),
- 16 opinions positives et 1 négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 1 vérification positive de réalisation complète des études du PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Immunoglobuline humaine normale, EMEA-C-001853-PIP01-15-M02, pour le traitement de l'immunodéficience primaire.

## À 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.