

PUBLIÉ LE 23/11/2020 - 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 13-16 octobre 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 16 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de l'arthrite idiopathique chronique (y compris polyarthrite rhumatoïde, spondylarthrite, polyarthrite psoriasique et arthrite juvénile idiopathique) pour bimékizumab,
- Traitement des réactions allergiques pour l'adrénaline (épinéphrine),
- Traitement de la rectocolite hémorragique pour guselkumab,
- Traitement du lupus érythémateux systémique pour pégol dapirolizumab,
- Traitement de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte pour les cellules stromales mésenchymateuses dérivées de moëlle osseuse allogénique, expansées ex-vivo (MC0518),
- Traitement de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte pour Inhibiteur de l'alpha1-protéinase (humain),
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour le vecteur viral adéno-associé sérotype 9 contenant le gène de la mini-dystrophine humaine (PF-06939926),
- Traitement de la Gangliosidose GM1 et GM2, traitement de la galactosialidose et traitement de la sialidose pour le venglustat,
- Prévention des crises d'œdème de Quincke idiopathique non histaminergique (INHA) pour lanadélumab,
- Traitement de la maladie du stockage du glycogène de type II (maladie de Pompe) pour l'Alpha-glucosidase acide humaine recombinante,
- Traitement des infections bactériennes à Gram négatif pour taniborbactam / céfépime,
- Traitement de la schizophrénie pour BI 425809,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique (NASH) pour cotadutide,
- Traitement de la maladie du stockage du glycogène de type II (maladie de Pompe) pour garadacimab,
- Traitement du reflux gastro-œsophagien et traitement de l'infection à Helicobacter pylori pour vonoprazam fumarate,
- Traitement de l'hémophilie A pour l'anticorps bispécifique se liant aux facteurs de coagulation IX et X.

Ont été octroyées :

- 12 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),
- 25 opinions positives 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) :**

- Sofusbuvir/Voxilaprévir/Velpatasavir, EMEA-C-001822-PIP01-15-M01, pour le traitement de l’hépatite C chronique.

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.