

PUBLIÉ LE 28/10/2020 - 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 1- 4 septembre 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 l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour danicopan,
- Traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne pour rAAVrh74.MHCK7.microdystrophine (SRP-9001),
- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine 1 (VIH-1) pour doravirine / islatravir,
- Traitement de l'angioedème héréditaire pour l'inhibiteur de la kallicréine plasmatique,
- Traitement de l'hyperhidrose pour le glycopyrronium (bromide),
- Traitement de la leucomalacie périventriculaire pour l'ensemble de la gamme de cellules mononucléées autologues non manipulées dérivées de sang de cordon ombilical humain (Hau-UCB-mnc),
- Traitement de l'hépatite virale chronique B pour N-(3-cyano-4-fluorophenyl)-1-methyl-4-[[(2S)-1,1,1-trifluoro-2-propanyl]sulfamoyl]-1H-pyrrole-2-carboxamide,
- Traitement de la néphropathie à Ig A pour (2S,4S)-2-(4-Carboxyphenyl)-4-ethoxy-1-[(5-methoxy-7-methyl-1H-indol-4-yl)methyl]piperidin-1-ium chloride—water (1/1),
- Traitement de la glomérulopathie C 3 pour (2S,4S)-2-(4-Carboxyphenyl)-4-ethoxy-1-[(5-methoxy-7-methyl-1H-indol-4-yl)methyl]piperidin-1-ium chloride—water (1/1),
- Traitement de l'hépatite virale chronique B pour le mélange de 2 oligonucléotides synthétiques d'ARNsi double brin conjugués à la N-acétyl-galactosamine dirigés contre le virus de l'hépatite B,
- Prévention de la neutropénie fébrile induite par la chimiothérapie et traitement de la neutropénie induite par la chimiothérapie pour le facteur de stimulation des colonies de granulocytes humains recombinants - protéine de fusion Fc d'immunoglobuline humaine (rhG-CSF-Fc),
- Traitement du gliome pour dabrafénib,
- Traitement du gliome pour tramétinib.

Ainsi qu'un avis négatif de PIP pour :

- Traitement de l'asthme pour l'anticorps monoclonal humanisé recombinant (IgG1, Kappa) anti-IL-5.

Ont été octroyées :

- 9 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),
- 21 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,

- 4 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Elivaldogène autotemcel, EMEA-C-001244-PIP01-11-M02, pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie,
  - Antigènes de surface du virus de la grippe (hémagglutinine et neuraminidase) des souches suivantes: A / (H1N1), A / (H3N2), B / lignée Yamagata, B / lignée Victoria, EMEA-C-001782-PIP01-15-M03, pour la prévention de l'infection grippale,
  - Lonapegsomatropin, EMEA-C-002692-PIP01-19, pour le traitement du déficit en hormone de croissance,
  - Eptacog beta (activé), EMEA-C-001203-PIP02-14-M02, pour le traitement des troubles congénitaux de la coagulation.

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.