

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 23- 26 juillet 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 maladie de Stargardt pour émixustat (hydrochloride),
- Traitement de la mucopolysaccharidose IIIA pour étisparvovec rebisufligène,
- Traitement du déficit en pyruvate kinase pour mitapivat,
- Traitement des brulures pour la greffe de peau bicouche à base d'hydrogel de collagène, composée de kératinocytes et de fibroblastes autologues,
- Traitement de l'anémie hémolytique auto-immune Gastaut pour l'anticorps monoclonal humain anti-récepteur Fc néonatal (m281),
- Traitement de l'hémophilie A pour fitelparvovec giroctocogène,
- Traitement de la sclérose en plaques pour diroximel, fumarate (BIIB098),
- Traitement du paludisme pour artesunate,
- Traitement de la leucémie myéloïde aiguë pour le (4S,7aR,9aR,10S,11E,14S,15R)-6'-chloro-10-methoxy-14,15-dimethyl-3',4',7a,8,9,9a,10,13,14,15-decahydro-2'H,7H-spiro[1,19-ethenocyclobuta[i][1,4]oxazepino[3,4-f][1,2,7]thiadiazacyclohexadecine-4,1'-naphthalen]-18(17H)-one 16,16-dioxide (AMG 176),
- Traitement de l'hypercholesterolémie pour lérodalcibep,
- Traitement de la surcroissance liée au spectre pIK3CA pour alpélisib,
- Traitement de la gastroparésie pour rélamorelin,
- Traitement du mélanome pour nivolumab / rélatlimab, (BIIB098),
- Traitement de l'atrésie biliaire pour odévixibat.

Ainsi qu'un avis négatif de PIP pour :

- Traitement de la stéatose hépatique non alcoolique, y compris la stéatohépatite non alcoolique, pour l'icosabutate.

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),
- 33 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 7 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP (en lien avec la demande d'AMM) :

- Eftrenonacog alfa, EMEA-C-000914-PIP01-10-M05, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur IX,
- Clostridium Botulinum neurotoxin type A (150 kD), sans protéines complexantes, EMEA-C-001039-
- PIP02-12-M04, pour le traitement de la sialorrhée,
- Idarucizumab, EMEA-C-001438-PIP01-13-M01, pour la prévention et le traitement des hémorragies associées au dabigatran,
- Délamanid, EMEA-C-001113-PIP01-10-M06, pour le traitement de la tuberculose multirésistante,
- Sphéroïdes de chondrocytes autologues humains associés à une matrice, EMEA-C-001264-PIP01-12-M02, pour le traitement des défauts du cartilage,
- Glucarpidase, EMEA-C-001391-PIP01-12, pour le traitement de la toxicité du méthotrexate,
- Pazopanib, EMEA-C-000601-PIP01-09-M06, pour le traitement du rhabdomyosarcome, du sarcome des tissus mous non rhabdomyosarcome et de la famille de tumeurs.

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.