

PUBLIÉ LE 18/09/2020 - 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 26- 29 mai 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 9 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement trouble de la consommation d'alcool pour l'ondansétron (hydrochloride),
- Traitement de la maladie de Huntington pour le tominersen,
- Traitement de l'hyperargininaemie pour le pégzilarginase,
- Traitement des maladies à orthopoxvirus (variole, variole du singe, variole chez la vache orthopoxvirus et vaccine) pour le técovirimat (monohydrate),
- Traitement myasthénie grave (myasthenia gravis) pour le rozanolixizumab,
- Inversion des effets antiplaquettaires du ticagrélor chez les patients avec saignements majeurs non-contrôlés ou potentiellement mortels ou nécessitant une intervention chirurgicale urgente ou une procédure invasive pour l'anticorps humain recombinant IgG1λ monoclonal Fab,
- Traitement des troubles ischémiques des artères coronaires pour le bisoprolol (fumarate) / trimétazidine (dihydrochloride),
- Traitement des néoplasmes malins de l'épithélium de la tête et du cou pour l'anticorps humanisé ciblant le récepteur co-stimulateur inductible des lymphocytes T,
- Traitement de la traitement de la maladie à coronavirus 19 (COVID19) pour le remdesivir

Et 2 opinions négatives de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du diabète sucré de type 1 et le traitement de type 2 pour Des-ThrB30-[GluA14, HisB16, HisB25,[Ne-(S)-(22,42-dicarboxy-10,19,24-trioxo-3,6,12,15-tetraoxa9,18,23-triazadotetracontan-1-oyl)] LysB29]-insuline (humaine) (Insulin 287),
- Traitement du déficit congénital en fibrinogène pour le Fibrinogène humain.

Ont été octroyées :

- 9 opinions positives et 1 opinion négative 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),
- 17 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 1 opinion de dérogation complète en remplacement d'un PIP (alemtuzumab EMEA-001072-PIP01-10-M04)
- 1 vérification positive de réalisation complète des études du PIP (en lien avec la demande d'AMM) :
  - Virus de la dengue chimérique vivant, atténué, sérotype 1 / sérotype 2 / sérotype 3 / sérotype 4 EMEA-C-001545-

PIP01-13-M02, pour la prévention de la dengue.

À savoir

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.