

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 28-30 avril 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 13 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :**

- Traitement des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le lenvatinib,
- Traitement de la gonorrhée urogénitale non compliquée pour le gépotidacin,
- Traitement du gliome pour les cellules autologues haptènisées et irradiées dérivées d'un gliome,
- Traitement du gliome pour les cellules allogéniques haptènisées et irradiées issues d'un gliome,
- Traitement du gliome pour les lysats cellulaires allogéniques haptènisés et irradiés dérivés du gliome,
- Traitement du gliome pour les lysats cellulaires autologues haptènisés et irradiés dérivés du gliome,
- Traitement de la mucoviscidose pour l'oligosaccharide d'alginate (sodium),
- Traitement de la myopie pour l'Atropine (sulphate),
- Traitement de l'ataxie télangiectasie pour le dexaméthasone (phosphate de sodium) encapsulée dans des érythrocytes autologues humains,
- Traitement des infections des voies urinaires non compliquées pour le gépotidacin,
- Traitement de la maladie de Wilson pour le bis-choline tétrathiomolybdate (ALXN1840),
- Traitement du déficit congénital en facteur IX (hémophilie B).pour l'élaparvovec fidanocogène,
- Traitement de la rétinite pigmentaire liée à l'X pour le vecteur viral adéno-associé sérotype 8 contenant le gène RPGR humain (AAV8-RPGR).

**Ont été octroyées :**

- 8 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,
- 3 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d'AMM :
  - Adalimumab, EMEA-C-000366-PIP02-09-M06, pour le traitement de la rectocolite hémorragique,
  - Lipegfilgrastim, EMEA-C-001019-PIP01-10-M05, pour la prévention de la neutropénie fébrile induite par la chimiothérapie et traitement de la neutropénie induite par la chimiothérapie,
  - Acide zolédronique EMEA-C-000057-PIP01-07-M07 pour le traitement de l'ostéoporose et traitement de la

maladie osseuse de Paget.

## 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.**