

PUBLIÉ LE 06/05/2020 - MIS À JOUR LE 14/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) - Réunion du 24-27 Mars 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 pédiatrie.

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 7 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du syndrome de Prader-Willi pour livolétide,
- Traitement des néoplasmes malins pour cyclophosphamide,
- Traitement de la leucémie aigue lymphoblastique et de la leucémie myéloïde chronique pour imatinib,
- Traitement des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour idasanutlin,
- Prévention et traitement du psoriasis pustuleux généralisé pour spesolimab,
- Traitement du prurit associé aux maladies rénales chroniques pour difelikefalin,
- Prévention de la candidose vulvovaginale récurrente et traitement de la candidose vulvovaginale pour ibrexafungerp.

Ont été octroyées :

- 6 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),
- 22 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 :
  - Mométasone (furoate monohydraté) / olopatadine (chlorhydrate) (SPG 301 NS) EMEA-C-002514-PIP01-18 pour le traitement de la rhinite allergique / rhinoconjonctivite,
  - Romiplostim EMEA-C-000653-PIP01-09-M05 pour le traitement de la thrombocytopénie immune (purpura thrombocytopénique idiopathique) et le traitement de la thrombocytopénie dans le syndrome myélodysplasique,
  - Lonafarnib EMEA-C-002516-PIP01-18 pour le traitement du syndrome de Hutchinson-Gilford (HGPS) et le traitement des laminopathies progéroïdes.

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.