

PUBLIÉ LE 07/04/2020 - 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 25-28 Février 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 17 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes du système nerveux central, et des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour bintrafusp alfa,
- Prévention des maladies à Streptococcus pneumoniae pour les polysaccharides pneumococciques individuellement biotinylés et complexés avec une protéine support (fusion recombinante de la rhizavidine et des protéines dérivées de Streptococcus pneumoniae), 24-valent,
- Traitement de la leucémie myéloïde aigue pour pracinostat,
- Traitement de l'urticaire spontanée chronique, pour le N-(3-{6-Amino-5-[2-(N-méthylprop-2 énamido)éthoxy]pyrimidin-4-yl}-5-fluoro-2-méthylphényl)-4-cyclopropyl-2-fluorobenzamide (LOU064),
- Traitement des infections à bactéries aérobies Gram-négatives, pour la polymyxine B,
- Traitement du gliome malin pour témozolomide,
- Traitement de la dermatite atopique pour l'acide dihomo-γ-linolénique (DS107),
- Traitement des peumopathies interstitielles avec fibrose pour 2-[[2-éthyl-6-[4-[2-(3-hydroxyazétidin-1-yl)-2-oxoéthyl]pipérazin-1-yl]-8-méthylimidazo[1,2-a]pyridin-3-yl](méthyl)amino]-4-(4-fluorophényl)-1,3-thiazole-5-carbonitrile (GLPG1690),
- Traitement l'adrénoleucodystrophie pour lériglitazone,
- Traitement du diabète sucré de type 1 pour ladarixine,
- Traitement de la neuropathie héréditaire optique de Leber (LHON) pour nolparvovec lenadogène (GS010),
- Traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne pour pegcétacoplan,
- Traitement de l'épilepsie pour cénobamate,
- Prévention de la maladie du greffon contre l'hôte pour l'inhibiteur (humain) de l'alpha1-protéinase (A1-PI),
- Traitement de la dermatite atopique pour le lébrikizumab,
- Traitement de l'insomnie pour (S)-(2-(5-chloro-4-méthyl-1H-benzo[d]imidazol-2-yl)-2-méthylpyrrolidin-1-yl)(4-méthoxy-2-(2H-Chlorhydrate de 1,2,3-triazol-2-yl)phényl)méthanone (daridorexant),
- Prévention des maladies à *Streptococcus pneumoniae* pour les polyssacharides pneumococciques sérotypes 6A, 14, 3, 12F, 23F, 33F, 5, 7F, 6B, 19A, 19F, 8, 11A, 15B, 1, 22F, 4, 9V, 10A, 18C) conjugués à la protéine support CRM197 et adsorbés sur du phosphate d'aluminium.

Ont été octroyées :

- 7 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),

- 18 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 :Sitagliptine EMEA-C-000470-PIP01-08-M11 pour le traitement du diabète sucré de type 2,
- Mépolizumab EMEA-C-000069-PIP04-13-M02 pour le traitement des vascularites,
- Lubiprostone EMEA-C-000245-PIP01-08-M06 pour le traitement de la constipation.

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.