

PUBLIÉ LE 10/03/2020 - 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 – 31 Janvier 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 12 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement du syndrome de duplication du chromosome 15q et du déficit en kinase-5 cycline-dépendante pour soticlestat,
- Traitement du lupus érythémateux disséminé pour baricitinib,
- Traitement de la myasthénie grave pour efgartigimod alfa,
- Traitement de l'infection gonococcique pour zoliflodacine,
- Traitement dans la transplantation de cellules souches hématopoïétiques pour les cellules hématopoïétiques allogéniques progénitrices CD34+ (CF), cultivées *ex vivo* , et des cellules hématopoïétiques allogéniques myéloïdes et lymphoïdes matures (NF), non cultivées, dérivées du sang de cordon ombilical,
- Traitement de la choroïdérémie pour timrepigène emparvovec,
- Traitement du déficit d'adhésion leucocytaire de type I pour les cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues transduites *ex vivo* avec un vecteur lentiviral codant pour le gène humain intégrine bêta 2 / CD18,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour le tris(hydroxyméthyl) aminométhane trihydrate (PF-05221304-82),
- Traitement de la thrombocytopénie induite par la chimiothérapie pour le maléate d'avatrombopag,
- Traitement de l'anémie de Fanconi de sous-type A pour les cellules autologues enrichies CD34+ provenant de patients atteints d'anémie de Fanconi de sous-type A (FA-A), transduites *ex vivo* avec un vecteur lentiviral portant le gène FANCA (PGKFANCA-WPRE),
- Traitement du syndrome de Rett, pour cannabidiol,
- Traitement de la myasthénie grave pour l'anticorps monoclonal néonatal humain anti-récepteur Fc.

Le PDCO a adopté 1 opinion de refus de PIP avec report :

Traitement de la mastocytose, pour avapritinib.

Le PDCO a adopté 4 avis positifs après ré-examen de PIP avec report et dérogation :

- Inotuzumab ozogamicin, pour le traitement de la leucémie aiguë lymphoblastique à cellules B,
- Vosoritide, pour le traitement de l'achondroplasie,
- Dupilumab, pour le traitement de l'œsophagite à éosinophiles,
- Dichlorhydrate de (R)-1-(3-(aminométhyl) phényl)-N-(5-((3 cyanophényl) (cyclopropylméthylamino) méthyl)-2-fluorophényl)-3-(trifluorométhyl)-1H-pyrazole-5-carboxamide (BCX7353), pour le traitement de l'angioedème

héréditaire.

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),
- 28 opinions positives et 1 opinion négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 1 vérification positive de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d'AMM:

Adjupanrix: fractions d'antigènes purifiées du virion fragmenté et inactivé de la grippe A/VietNam/1194/2004 (H5N1) souche (NIBRG-14) / Prépandrix: fractions d'antigènes purifiées du virion fragmenté et inactivé de la grippe A /Indonesia/05/2005 souche (PR8-IBCDC-RG2), pour la prévention de la grippe.

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.