

PUBLIÉ LE 23/12/2019 - 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 09 – 11 Décembre 2019

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 11 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes

- Traitement de l'angiœdème héréditaire (AOH), pour le (R)-1-(3-(aminométhyl) phényl)-N-(5-((3 cyanophényl) (cyclopropylméthylamino) méthyl)-2-fluorophényl)-3-(trifluorométhyl)-1H-pyrazole-5-carboxamide dihydrochloride (BCX7353) ;
- Traitement de la maladie aigue du greffon contre l'hôte, pour les Ac Anti-CD7 mAb/ Anti-CD3 mAb conjugués à la chaine A de la toxine de ricin ;
- Prévention des migraines, pour atogépant ;
- Traitement des cholangites sclérosantes primitives et auto-immunes, pour l'acide norursodésoxycholique ;
- Traitement de l'asthme, pour l'immunoglobuline humaine isotype G2 anti-IL-33R ;
- Traitement de la leucémie myéloïde chronique, pour l'asciminib ;
- Traitement de l'hémophilie A, pour le Facteur VIII Fc - facteur Von Willebrand - protéine de fusion XTEN (rFVIIIFc-VWF-XTEN) ;
- Traitement du psoriasis, pour le nanocorps anti-IL-17A/F (MK1095) ;
- Traitement de l'asthme, pour le sel de L-lysine de l'acide 2-[[8-chloro-3-[(4-chlorophényl) méthyl]-4-(difluorométhoxy)-2-éthyl-5-quinolinyl]oxy] acétique (GB001) ;
- Prévention des maladies pulmonaires chroniques chez les prématurés, pour le mécasermine rinfabate ;
- Néphropathie primaire à IgA, pour le budésonide.

Le PDCO a adopté 1 opinion de refus de PIP avec report et dérogation

- Traitement de l'œsophagite éosinophilique pour dupilumab.

Le PDCO a adopté 1 avis positif après ré-examination de PIP avec report et dérogation

- Traitement de l'asthme pour le 3-[5-[(1R, 2S)-2-(2,2-difluoropropanoylamino)-1-(2,3-dihydro-1,4-benzodioxin-6-yl) propoxy] indazol-1-yl]-N-[(3R)-tétrahydrofuran-3-yl] benzamide (AZD7594).

Ont été octroyées

- 12 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) ;
- 13 opinions positives et 1 opinion négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation ;
- 5 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d'AMM :
  - Lurasidone (hydrochloride), EMEA-C-001230-PIP01-11-M05, pour le traitement de la schizophrénie ;
  - Vestronidase alfa, EMEA-C-001540-PIP01-13-M01, pour le traitement de la mucopolysaccharidose de type VII ;
  - Octenidine (dihydrochloride), EMEA-C-001514-PIP01-13-M01, pour le traitement des infections des voies respiratoires supérieures ;
    Glecaprevir/ Pibrentasvir, EMEA-C-001832-PIP01-15-M02, pour le traitement de l'hépatite C chronique ;
  - Thiosulfate de sodium (STS), EMEA-C-002147-PIP02-17-M01, pour la prévention de la surdité ototoxique induite par le platine.

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.