

PUBLIÉ LE 20/10/2019 - 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 15 - 18 octobre 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 17 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes

- Traitement des tumeurs gliales malignes pour le marizomib,
- Traitement de l'asthme pour 3-[5-[(1R,2S)-2-(2,2-difluoropropanoylamino)-1-(2,3-dihydro-1,4-benzodioxin-6-yl)propoxy]indazol-1-yl]-N-[(3R)-tetrahydrofuran-3-yl]benzamide,
- Traitement de la douleur aiguë pour le kétamine (hydrochloride) / sufentanil (citrate),
- Prévention de la dysplasie bronchopulmonaire pour l'hydrocortisone (hemisuccinate),
- Dans l'anesthésie générale et la sédation pendant les procédures médicales pour le rémimazolam (bésylate),
- Traitement de toutes les affections comprises dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le selpercatinib,
- Traitement des patients atteints de neuroblastome pédiatrique avec rechute au niveau du système nerveux central (SNC), comme en témoignent les métastases CNS / leptoméningées (LM) pour traitement des néoplasmes malins du système nerveux central pour le larotrectinib,
- Traitement des infections bactériennes aiguës de la peau et des structures cutanées pour l'iclaprim (mésylate),
- Traitement du lymphome lymphoplasmocytaire et traitement des néoplasmes à cellules B matures (à l'exclusion du lymphome lymphoplasmocytaire) pour le zanubrutinib.
- Traitement du paludisme sévère à Plasmodium falciparum pour l'artésunate,
- Traitement de la carence en « kinase-like 5 » cycline dépendante (CDKL5) pour le ganaxolone,
- Traitement des lymphomes anaplasiques à grandes cellules et traitement de la tumeur myofibroblastique inflammatoire pour le crizotinib,
- Traitement de l'hyperoxalurie primaire pour l'oligonucléotide synthétique siRNA double brin dirigé contre l'ARNm de la lactate déshydrogénase A et contenant quatre nucléosides modifiés qui forment un groupe de ligands de quatre résidus de N-acétylgalactosamine,
- Traitement dans la greffe de cellules souches hématopoïétiques pour le narsoplimab,

- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour le ritonavir / l’atazanavir (sulfate),
- Traitement de l’épilepsie pour le phénobarbital,

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

- Traitement de toutes les maladies incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des tumeurs du système nerveux central, des néoplasmes hématopoïétiques et du tissu lymphoïde) et le traitement des tumeurs malignes du système nerveux central pour l’ivosidénib.

Ont été octroyées

- 14 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),
- 39 opinions positives et 1 opinion négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation.
- 2 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d’AMM :
  - Asfotase alfa, EMEA-C-000987-PIP01-10-M04, pour le traitement de l’hypertension artérielle pulmonaire (HTAP),
  - Décitabine, EMEA-C-000555-PIP01-09-M06, pour le traitement de la leucémie myéloïde aiguë.

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.