

PUBLIÉ LE 30/08/2019 - MIS À JOUR LE 09/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunions du 23-26 juillet et 20-23 août 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 la session de juillet 15 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes

- Traitement du syndrome de la bronchiolite oblitérante pour la ciclosporine liposomale A (L-CsA),
- Prévention des migraines pour l'éptinézumab,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception du système nerveux central, des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le pégvorhyaluronidase alfa,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des tumeurs malignes hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le niraparib (monohydrate tosylate)
- Prévention de l'infection grippale et traitement de l'infection grippale pour le baloxavir marboxil,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception du système nerveux central, des néoplasmes des tissus hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le bempegaldesleukine,
- Traitement de l'épidermolyse bulleuse pour l'extrait d'écorce de bouleau,
- Traitement du diabète de type 2 pour le tirzépatide,
- Traitement de toutes les affections incluses dans la catégorie des néoplasmes malins (à l'exception des tumeurs malignes hématopoïétiques et lymphoïdes) pour le dostarlimab,
- Prévention de la grossesse pour le lévonorgestrel,
- Traitement de la neurodégénérescence associée à la pantothénate kinase pour fosmetpantoténate,
- Traitement des ichtyoses pour la crème trifarotène HE1.
- Prévention du syndrome hémolytique et urémique pour l'immunoglobuline équine 2 fragments F (ab ') ciblant la toxine Shiga (NEAST),
- Traitement du déficit en acide décarboxylase L-amino aromatique pour le vecteur viral recombinant adéno-associé de sérotype 2, portant le gène humain de la protéine acide décarboxylase L-amino aromatique,
- Traitement de stéatohépatite non alcoolique pour le facteur de croissance des fibroblastes pégylés 21.

Le PDCO a adopté 2 opinions de refus de PIP en juillet et en août, avec une dérogation complète du PDCO de sa propre initiative

- Prévention de l'infection par le virus de l'hépatite B pour le vaccin recombinant contre l'hépatite B
- Traitement du syndrome de la Tourette pour l’écopipam (hydrochloride)

Ont également été octroyées

- 29 opinions positives en juillet de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 8 opinions positives en juillet et 6 opinions positives en août sur les demandes 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).
- 3 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d’AMM :
  - Terbinafine (hydrochloride), EMEA-C-001259-PIP02-13-M02, pour le traitement des onychomycoses, en juillet,
  - Dabigatran etexilate mesilate, EMEA-C-000081-PIP01-07-M11, pour le traitement des événements thromboemboliques, en août,
  - Caplacizumab, EMEA-C-001157-PIP01-11-M02, pour le traitement du purpura thrombocytopénique thrombotique, en août.

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.