

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) – Réunion du 25 - 28 juin 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 7 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes

- Traitement de la déficience en décarboxylase aromatique L-aminoacide pour le vecteur viral recombinant adéno-associé sérotype 2 portant le gène humain de la protéine décarboxylase de L-aminoacide aromatique,
- Traitement du psoriasis pour le 6-cyclopropaneamido-4-{[2-methoxy-3-(1-methyl-1H-1,2,4 triazol-3-yl)phenyl]amino}-N-(2H3)methylpyridazine-3-carboxamide,
- Traitement de la dermatite atopique pour l'immunoglobuline humaine (Ig) anticorps monoclonal variant G4 qui se lie et neutralise l'interleukine humaine soluble (IL-) 33,
- Traitement de l'hépatite D chronique pour le bulévirtide,
- Prévention de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte pour le védolizumab,
- Traitement de l'hyperoxalurie pour l'Oxalobacter formigenes souche HC-1,
- Traitement de la maladie liée à l'immunoglobuline G4 pour l'anticorps monoclonal humanisé Fc anti-CD19.

Le PDCO a adopté 2 opinions de refus de PIP

- Traitement des verrues vulgaires (verrucae vulgaris) pour le peroxide d'hydrogène (45%), avec dérogation complète de la part du PDCO,
- Traitement de l'endométriose pour rélugolix / estradiol / acétate de norethisterone, du PIP avec report.

Le PDCO a maintenu son opinion suite à une demande de ré-examen dans le traitement de l'épidermolyse bulleuse dystrophique.

Ont également été octroyées

- 10 opinions positives 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),
- 17 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 :
  - Etravirine, EMEA-C-000222-PIP01-08-M09, pour le traitement de l'infection par le virus VIH-1.

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.