

PUBLIÉ LE 05/08/2019 - 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 27 - 29 mai 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 glomérulopathie C3 pour le (2S,4R)-1-(2-(3-acetyl-5-(2-methylpyrimidin-5-yl)-1H-indazol-1-yl)acetyl)-N-(6-bromopyridin-2-yl)-4-fluoropyrrolidine-2-carboxamide,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour le tropifexor,
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour l'emricasan,
- Traitement du trouble lymphoprolifératif post-greffe associé au virus Epstein-Barr pour le tabelecleucel,
- Traitement de la drépanocytose pour les cellules souches hématopoïétiques CD34 + autologues transduites avec le vecteur lentiviral contenant le gène humain βA-T87Q-globine,
- Traitement de la douleur aigüe pour le fentanyl,
- Traitement du syndrome de Hutchinson-Gilford Progeria et traitement des laminopathies progéroïdes pour le lonafarnib.

Le PDCO a adopté 2 opinions de refus de PIP pour :

- Prévention des maladies infectieuses causées par Corynebacterium diphtheriae, Clostridium tetani et Bordetella pertussis pour le diphtheria toxoid / tetanus toxoid / pertussis toxoid / pertussis filamentous haemagglutinin / pertactin, avec une dérogation complète du PDCO,
- Traitement de l'otite externe aiguë pour le dexamethasone (sodium phosphate) / levofloxacin, avec une dérogation complète du PDCO.

Ont également été octroyées :

- 9 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),
- 22 opinions positives de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation, et 1 waiver en remplacement d'un PI
- 4 vérifications positives de réalisation complète des études du PIP, en lien avec les demandes d'AMM :
  - Ustekinumab, EMEA-C-000311-PIP01-08-M04,, pour le traitement du psoriasis chronique en plaques,
  - Rituximab, EMEA-C-000308-PIP01-08-M04, pour le traitement du lymphome diffus à grandes cellules B et traitement de l'arthrite auto-immune,

- Peginterferon alfa-2a, EMEA-C-000298-PIP01-08-M06 pour le traitement de l'hépatite B chronique et de l'hépatite C chronique,
- Efmoroctocog alfa, EMEA-C-001114-PIP01-10-M03, pour le traitement du déficit héréditaire en facteur VIII.

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.