



EUROPE - AVIS DU PDCO

PUBLIÉ LE 03/05/2019 - 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 26 - 29 Mars 2019

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 du lupus systémique pour l'ustékinumab
- Traitement du diabète de type 2 pour l'efpéglénatide
- Prévention des mucites pour le dusquétide
- Traitement de l'hémophilie congénitale A et B pour le fitusiran
- Traitement de la mucoviscidose pour le N-(trans-3-(5-((R)-1-hydroxyethyl)-1,3,4-oxadiazol-2-yl) cyclobutyl)-3-phenylisoxazole-5-carboxamide
- Traitement de l'asthme pour l'association bécloметasone dipropionate / formoterol fumarate dihydrate / glycopyrronium bromide
- Traitement des rhinites et rhino-conjonctivites allergiques pour l'association mometasone (furoate monohydrate) / olopatadine (hydrochloride)

Le PDCO a adopté une opinion négative de PIP et de dérogation pour l'association salbutamol sulfate / budésonide dans le traitement de l'asthme.

Le PDCO a adopté une opinion positive révisée de PIP et de dérogation suite au ré-examen de la sulfamidase recombinante humaine dans le traitement de la mucopolysaccharidose de type IIIA.

Ont également été octroyés:

- 12 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),

- 14 opinions positives et 1 négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 5 retraits de PIPs avant finalisation de la procédure.

## 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.



PDCO monthly report of opinions on paediatric investigation plans and other activities - PDCO 26-29 March 2019 - Site EMA