

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 février - 1 mars 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 14 avis favorables révisés de PIPs, dans les indications suivantes :

- Traitement de la maladie de Crohn et de la colite ulcéreuse pour le voclosporin,
- Traitement de la fibrose pulmonaire interstitielle pour le nintedanib,
- Traitement de néoplasmes de cellules B matures pour les cellules autologues enrichies en lymphocytes T transduites avec un vecteur lentiviral codant pour un récepteur d'antigène chimère ciblant l'antigène de maturation des cellules B humaines avec des domaines de signalisation intracellulaires de 4-1BB et CD3-zêta,
- Prévention de la maladie à virus Ebola pour le vaccin vivant monovalent, vivant, recombinant, dépourvu de réplication, du sérotype 26 exprimant la glycoprotéine de longueur complète de la variante de Mayinga du virus Ebola,
- Prévention de la maladie à virus Ebola pour le vaccin multivalent, vivant, recombinant, ne se répliquant pas dans les cellules humaines, vaccin à vecteur Vaccinia Ankara modifié, exprimant la glycoprotéine EBOV Mayinga, le virus soudanien Gulu GP, le virus Marburg Musoke GP et la nucléoprotéine du virus Taï Forest,
- Traitement de l'insuffisance cardiaque aiguë pour le N-hydroxy-5-methylfuran-2-sulfonamide,
- Traitement du rhabdomyosarcome pour le vinorelbine liposomal (tartrate),
- Traitement de la candidose vulvo-vaginale pour l’otéséconazole,
- Traitement de la rétinopathie des prématurés pour l’aflibercept,
- Traitement de la colite ulcéreuse pour l’ozanimod,
- Traitement de lupus érythémateux disséminé (SLE) pour l’anticorps monoclonal anti-immunoglobuline humaine G1-kappa anti-IL-21,
- Traitement de la sclérose en plaque pour l’ofatumumab,
- Traitement du sarcome d'Ewing pour l’abémaciclib,
- Détection et visualisation de troubles ou lésions avec suspicion de vascularisation anormale dans diverses régions du corps à des fins de diagnostic pour le gadopiclénol.
- Ainsi que 1 avis négatif de PIP, incluant un report, pour :
  - Traitement de l’hidrosadénite suppurée pour le sécukinumab.

Ont également été octroyés :

- 11 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),

- 20 opinions positives et 1 négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation,
- 5 retraits de PIPs avant finalisation de la procédure,
- 3 vérifications positive de réalisation complète des études du PIP, précédant la demande d'AMM :
  - Conestat alfa, EMEA-C-000367-PIP01-08-M08, pour le traitement de l'angioedème héréditaire (HAE),
  - Dénosumab, EMEA-C-000145-PIP01-07-M09, pour le traitement de la perte osseuse associée à la thérapie hormonale ablative, la prévention des événements liés au squelette chez les patients atteints de métastases osseuses, le traitement de la tumeur osseuse à cellules géantes, le traitement de l'arthrite chronique idiopathique (y compris la polyarthrite rhumatoïde, le rhumatisme psoriasique, la spondylarthrite ankylosante et l'arthrite idiopathique juvénile), traitement de l'hypercalcémie maligne,
  - Sébelipase alfa, EMEA-C-001331-PIP01-12-M02 pour le traitement d'une déficience en lipase lysosomale acide.

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.