

PUBLIÉ LE 18/09/2020 - MIS À JOUR LE 30/03/2021

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) - Réunion du 23- 26 Juin 2020

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 pédi1atrie.
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 10 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de la douleur musculo-squelettique chronique et traitement de la douleur chronique non musculo-squelettique pour le fasinumab,
- Traitement de la cholangite sclérosante primitive pour le cilofexor,
- Traitement de la maladie de Crohn pour le guselkumab,
- Traitement de la myopathie myotubulaire liée à l'X pour le résamirigene bilparvovec,
- Traitement du syndrome de Dravet et traitement du syndrome de Lennox-Gastautpour le soticlestat,
- Traitement de la sclérose en plaques pour (R)-1-(1-acryloylpiperidin-3-yl)-4-amino-3-(4-phenoxyphenyl)-1H-imidazo[4,5-c]pyridin-2(3H)-one,
- Traitement de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour darunavir / ritonavir,
- Traitement de l'hémophilie congénitale A et traitement de l'hémophilie congénitale B pour le marstacimab,
- Traitement du déficit en hormone de croissance pour le lonapegsomatropin
- Traitement de la thrombocytopénie immunitaire pour le rilzabrutinib.

Ont été octroyées :

- 14 opinions positives de demande 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),
- 23 opinions positives et 1 opinion négative de modifications de PIPs avalisés et en cours de réalisation.

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.