

Comités de l'EMA : Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT)

Introduction

Le Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) évalue la qualité, la sécurité et l'efficacité des médicaments de thérapie innovante (advanced-therapy medicinal products, ATMP). Les ATMP sont des médicaments à usage humain qui sont fabriqués à partir de gènes et de cellules ou de tissus ; ils regroupent les médicaments de thérapie génique, les médicaments de thérapie cellulaire somatique, les médicaments issus de l'ingénierie tissulaire et les médicaments combinés de thérapie innovante. Le présent article contient des informations sur les ATMP, ainsi que sur les concepts réglementaires et la législation qui régissent les activités du CAT.

Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT) de l'EMA

Les ATMP peuvent offrir de nouvelles possibilités de traitement contre de nombreuses maladies, comme la maladie d'Alzheimer, le cancer, les maladies génétiques comme la dystrophie musculaire ou les brûlures cutanées.

Il existe quatre groupes principaux d'ATMP :

- **Les médicaments de thérapie génique (GTMP)**

Les GTMP contiennent des gènes qui conduisent à un effet thérapeutique. Les GTMP insèrent des gènes

« recombinants » dans les cellules, utilisant fréquemment un virus comme vecteur (véhicule utilisé pour transférer du matériel génétique vers une cellule cible) pour transporter le gène. Un gène recombinant est une partie d'ADN qui est créée en laboratoire, regroupant des ADN de différentes sources. Lorsque le gène pénètre dans les cellules du patient, celles-ci produisent ou commencent à produire une protéine, ce qui peut contribuer à ralentir ou à guérir diverses maladies, notamment des troubles génétiques, des cancers ou des maladies chroniques.

- **Médicaments de thérapie cellulaire somatique**

Les médicaments de thérapie cellulaire somatique contiennent des cellules (cellules non sexuelles) ou des tissus qui ont subi des manipulations visant à modifier leurs caractéristiques biologiques. Ils peuvent être utilisés pour guérir, diagnostiquer ou prévenir des maladies. L'utilisation des cellules cancéreuses d'un patient après manipulation, pour combattre les cellules cancéreuses demeurant dans son organisme est un exemple de thérapie cellulaire somatique.

- **Médicaments issus de l'ingénierie tissulaire**

Les médicaments issus de l'ingénierie tissulaire contiennent des cellules ou des tissus qui ont été substantiellement modifiés par ingénierie afin qu'ils puissent être utilisés pour réparer, régénérer ou remplacer un tissu. La peau artificielle utilisée pour traiter les brûlures est un exemple de produit issu de l'ingénierie tissulaire.

- **ATMP combinés**

Les ATMP combinés intègrent dans leur composition un ou plusieurs dispositifs médicaux.

Ces traitements représentent un potentiel considérable pour

les patients, car les technologies à l'origine des thérapies innovantes peuvent avoir des effets positifs à long terme. Ils peuvent offrir aux patients un traitement efficace et réduire par la suite les coûts de prise en charge des soins à long terme.

Tandis qu'elles génèrent de très grands espoirs, les thérapies innovantes sont également associées à certains problèmes :

- **Nouveaux risques très importants**, notamment
 - Risque d'infection virale si un vecteur viral se réactive
 - Risque de cancer
 - Risque pour les professionnels de santé et les soignants en cas d'exposition accidentelle au traitement
- **Problèmes éthiques**, notamment
 - Non-respect des droits des donneurs vivants par manque d'information
 - Administration aux patients de produits cellulaires (de cellules souches) dont l'efficacité n'a pas été démontrée et dont la sécurité n'est pas garantie

Les thérapies innovantes sont souvent développées par des petits laboratoires pharmaceutiques ou des unités de recherche hospitalières. La législation de l'UE prévoit des incitations pour encourager la recherche et le développement de thérapies innovantes, comme une réduction des frais de conseil scientifique de l'EMA. De nouvelles procédures réglementaires sont disponibles pour les entreprises développant des ATMP (classification et certification des ATMP).

Concepts réglementaires et législation applicable

Depuis 2008, tous les ATMP doivent utiliser la procédure centralisée (CP). Ceci garantit qu'ils bénéficient de la

procédure unique d'évaluation et d'autorisation mise en place au sein de l'UE. Cela permet aux entreprises de commercialiser plus facilement leurs produits et aux patients des différents États Membres d'accéder à ces produits.

Les ATMP sont des médicaments complexes qui exigent des critères d'évaluation allant plus loin que ceux appliqués au domaine pharmaceutique classique. À titre d'exemple, pour les produits contenant des organismes génétiquement modifiés (OGM) ou composés d'OGM, une évaluation du risque environnemental est obligatoire pour estimer les risques pour la santé humaine et l'environnement.

La législation exige que l'expertise au sein du CAT couvre tous les domaines concernés par les thérapies innovantes, parmi lesquels :

- Les dispositifs médicaux
- L'ingénierie tissulaire
- La thérapie génique
- La thérapie cellulaire
- La biotechnologie
- La chirurgie
- La pharmacovigilance
- La gestion des risques
- L'éthique

Le CAT prépare un projet d'avis sur chaque produit. Cet avis est transmis au CHMP. En fonction de l'avis émis par le CAT, le CHMP adopte une recommandation sur l'accord/le refus, la modification, la suspension ou la révocation de l'AMM. La recommandation est ensuite transmise à la Commission européenne pour qu'elle prenne une décision sur l'AMM.

Une fois que les produits sont autorisés et commercialisés, l'EMA effectue une évaluation complémentaire de leur sécurité et de leur efficacité. L'EMA apporte également une aide scientifique aux entreprises pour qu'elles puissent créer des

systemes permettant de surveiller la sécurité de ces médicaments.

Les entreprises qui fabriquent des ATMP doivent être en mesure d'assurer la traçabilité de leurs produits, du lieu de fabrication jusqu'aux hôpitaux ou établissements où ils sont utilisés pour traiter des patients. Les hôpitaux doivent également être en mesure de retrouver tous les patients qui ont été traités avec ces médicaments. Les systèmes en place doivent permettre une traçabilité totale, par le biais d'un codage anonyme dans le cas de donneurs externes :

- Dans l'établissement où le tissu est prélevé : lien entre le donneur et le prélèvement.
- Sur le site de fabrication : lien entre le don et le produit.
- À l'hôpital ou au cabinet : lien entre le produit et le patient.

Ressources complémentaires

- Agence européenne des médicaments (2015). *Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT)*. Consulté le 3 septembre 2015 sur http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. Consulté le 4 septembre 2015 sur <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- Organisation mondiale de la Santé (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Consulté le 4 septembre 2015 sur <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

Annexes

- Fiche de données : Résumé des concepts réglementaires et de la législation, et rôle des associations de patients

Size: 99,403 bytes, Format: .docx

Cette fiche de données présente les différents concepts réglementaires et la législation associée aux produits pharmaceutiques spéciaux, et fournit des informations sur le rôle des associations de patients dans ces processus réglementaires.

A2-5.08.3-v1.1