

# Comment les médicaments sont-ils réglementés ?

## Introduction

Un médicament ne peut pas être commercialisé dans l'Union européenne (UE) si la société n'a pas obtenu pour ce médicament une autorisation de mise sur le marché (AMM) auprès de l'autorité réglementaire concernée. Les AMM sont octroyées uniquement pour les médicaments dont la sécurité, l'efficacité et la haute qualité ont été prouvées.

Lorsqu'un laboratoire pharmaceutique souhaite obtenir l'autorisation de mettre sur le marché un nouveau médicament, il doit déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché (DAMM) auprès de l'autorité ou des autorités réglementaire(s) compétente(s).

## Établissement des règles pour la réglementation des médicaments

Les règles pour obtenir une AMM sont énoncées dans divers documents législatifs aux niveaux européen et national :

- Réglementations et directives
- Lignes directrices

## Réglementations et directives

Les réglementations et directives de l'UE sont proposées par la Commission européenne et adoptées conjointement par le Conseil et le Parlement de l'Union européenne après examen et amendements éventuels.

Une fois les réglementations adoptées, elles sont directement

applicables en droit dans tous les États membres (EM).

Les directives sont des instructions aux États membres. Les exigences d'une directive doivent être transposées dans le droit national des États membres.

Toutes les réglementations et directives sont consultables sur le site Web de la Commission européenne dans l'Eudralex : [http://ec.europa.eu/health/documents/eudralex/vol-1/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/documents/eudralex/vol-1/index_en.htm)

## **Lignes directrices**

Les réglementations et les lois nationales ne sont pas toujours très détaillées. Pour faciliter l'interprétation de la législation et son application uniforme dans l'ensemble de l'Union européenne, de nombreuses lignes directrices de natures réglementaire et scientifique ont été adoptées. Elles fournissent des informations plus détaillées à la fois pour l'industrie et les autorités réglementaires sur les actions précises à effectuer dans toute situation donnée.

Les projets de lignes directrices sont publiés pour consultation ouverte avant adoption de la version finale par le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et/ou la Commission européenne.

[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general\\_content\\_000043.jsp&mid=WC0b01ac05800240cb](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000043.jsp&mid=WC0b01ac05800240cb)

Lorsqu'une société dépose un dossier de demande d'AMM, les autorités réglementaires évaluent si la société a respecté les lignes directrices concernées. Les écarts par rapport à une directive sont acceptables uniquement lorsqu'ils sont accompagnés d'une justification scientifique solide.

# Évaluation d'un médicament pour une autorisation de mise sur le marché

Les autorités réglementaires vérifient le dossier déposé par la société et évaluent s'il établit suffisamment que le médicament répond aux critères exigés concernant les aspects suivants :

- Qualité
- Sécurité
- Efficacité

Le dossier doit également démontrer que le bénéfice associé au médicament l'emporte sur le risque (rapport bénéfice/risque positif).

## **Qualité**

La substance active contenue dans le médicament doit être de haute qualité. La société doit décrire la manière dont elle produit la substance active. Elle doit également documenter la nature et la quantité de toute impureté dans la substance active, ainsi que la manière dont elle contrôle ces quantités.

La société doit également décrire la manière dont elle fabrique le produit pharmaceutique fini et toutes les procédures de test qu'elle utilise pour garantir sa bonne qualité.

## **Sécurité**

Durant le développement d'un médicament, la société doit démontrer que la substance active et le produit pharmaceutique fini sont sûrs. Le médicament doit être testé d'abord sur des animaux (tests de sécurité non cliniques), puis sur des humains (études cliniques).

La société doit collecter toutes les informations sur toutes les réactions indésirables possibles ou observées.

## **Efficacité**

Les résultats des essais cliniques doivent démontrer que le médicament a l'effet souhaité.

## **Évaluation du rapport bénéfice/risque**

La tâche la plus importante pour les régulateurs est d'évaluer le rapport entre les bénéfices et les risques associés au médicament. Un médicament ne peut jamais être totalement sûr. Cela signifie qu'avant d'autoriser un médicament, les régulateurs doivent se poser les questions suivantes :

- Quels sont tous les effets bénéfiques du médicament, par exemple, quels sont ses effets thérapeutiques sur la maladie ?
- Quels sont les effets néfastes du médicament, par exemple, produit-il des réactions indésirables ?
- Les bienfaits liés à la prise du médicament l'emportent-ils sur les risques encourus ?

Les évaluations de rapport bénéfice/risque ne sont pas simples à réaliser. L'examen attentif de tous les effets indésirables dus au médicament doit montrer que de tels effets sont acceptables. Cela dépend de plusieurs facteurs, par exemple, la gravité de la maladie.

- Si le médicament est conçu pour traiter une douleur légère, seuls quelques effets secondaires légers seront acceptables.
- Si le médicament est destiné au traitement d'un cancer grave pour lequel il n'existe pas encore de traitement, des effets secondaires relativement graves peuvent être acceptés. En effet, les bénéfices de l'amélioration de la qualité de vie ou de l'allongement de la durée de vie peuvent l'emporter sur les risques associés à la prise du médicament.

# Implication des patients

Les patients sont des parties prenantes importantes dans l'approbation des nouveaux médicaments, car ce sont eux qui prennent effectivement les médicaments.

Au niveau européen, l'Agence européenne des médicaments (EMA) a décrit plusieurs scénarios dans lesquels les patients sont impliqués dans les processus réglementaires.

Les organisations de patients occupent deux sièges au directoire de l'EMA. De plus, ils sont officiellement représentés dans quatre des sept comités scientifiques :

- Comité des médicaments orphelins (COMP)
- Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT)
- Comité pédiatrique (PDCO)
- Comité d'évaluation des risques en matière de pharmacovigilance (PRAC)

De plus, le Comité des médicaments à usage humain (CHMP), qui est responsable de l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché déposées par le biais de la procédure centralisée (PC), consulte, si nécessaire, les organisations de patients dans des cas spécifiques.

Établi en 2006, le groupe de travail avec les organisations de patients et de consommateurs (PCWP) de l'EMA a permis à l'Agence de tirer parti de ses interactions existantes avec les patients et les consommateurs. Il fournit des recommandations à l'EMA et à ses comités scientifiques relatifs à l'usage humain sur tous les sujets jugés utiles en lien avec les médicaments.

## References

European Medicines Agency (2019). *Mandate, objectives and composition of the Patients and Consumers Working Party (PCWP)* Retrieved 31 July, 2021, from

[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2010/02/WC500073497.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2010/02/WC500073497.pdf)