



Le chemin du Médicament

Le chemin du Médicament

I - Les critères d'évaluation du Médicament

II - Les avantages liés aux médicaments orphelins,

1) Généralités

2) Cas des nouvelles thérapies

III - Le Chemin du Médicament

IV - L'autorisation pour les essais cliniques

V - Les difficultés les plus fréquentes

VI- Conclusion

I- Les critères d'évaluation du Médicament

- La Qualité
- La Sécurité
- L'Efficacité

« Tout le monde a droit à des médicaments de même niveau de qualité, de sécurité et d'efficacité, y compris les personnes souffrant de maladies rares ».

II - Les Avantages liés aux médicaments orphelins

1) Généralités

Dans le domaine des maladies rares, le chemin du médicament est facilité :

- *Au plan administratif* :
 - Réduction des taxes à payer aux Agences Réglementaires
 - Procédures administratives accélérées
(Autorisation de Mise sur le Marché: AMM,
Autorisation temporaire d'Utilisation: ATU, ...)
 - Exclusivités commerciales pendant 10 ans.
- *Au niveau de l'Efficacité* :
 - Car les populations malades ne sont pas comparables aux pathologies plus répandues : Essais cliniques avec moins de malades, développement clinique plus rapide.
- *Au niveau scientifique* :
 - Les exigences sont les mêmes que pour les autres médicaments :
 - Pour la **Qualité** du produit
 - Pour l'étude de la **Sécurité** du produit

II - Les Avantages liés aux médicaments orphelins (suite)

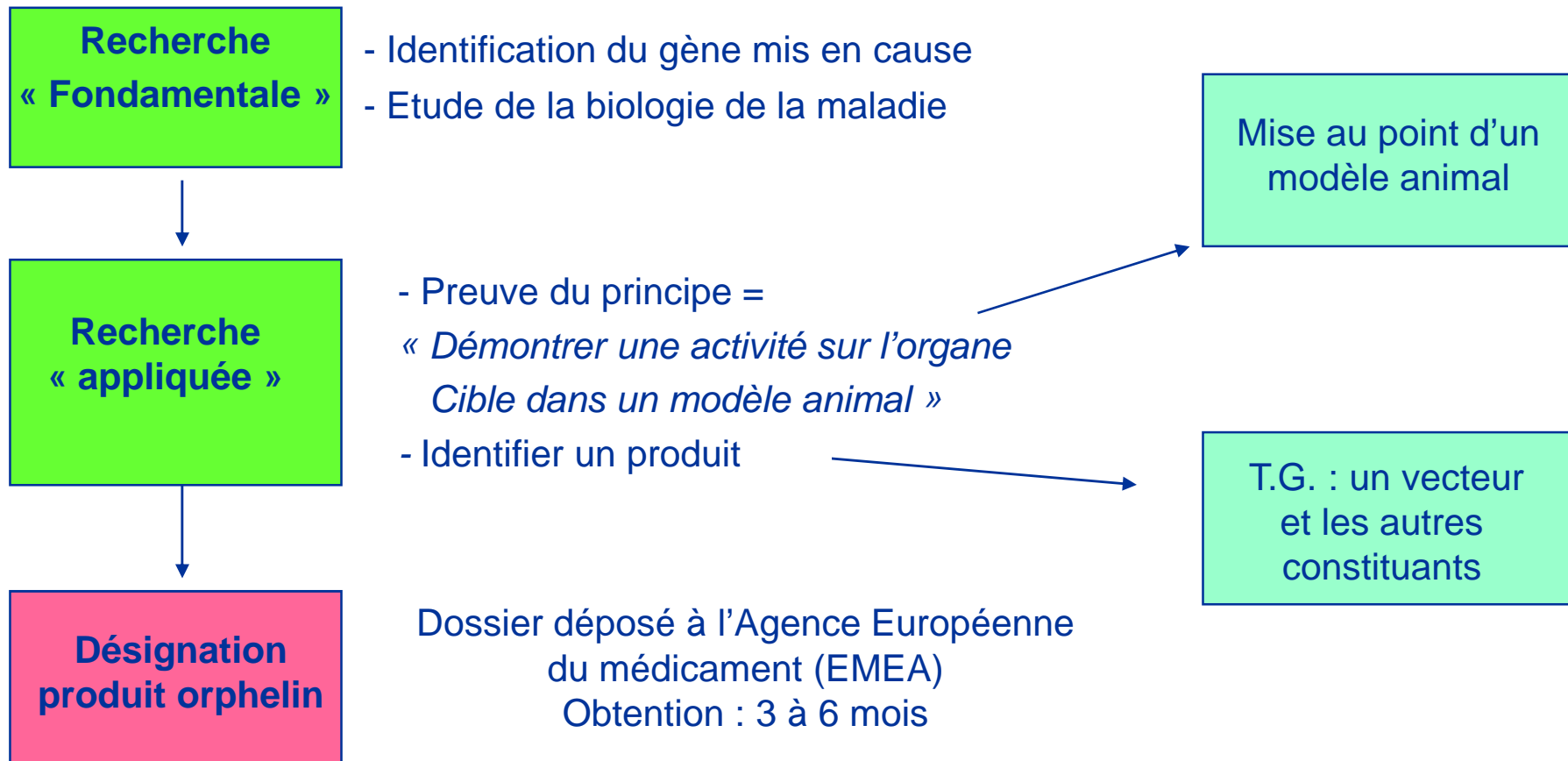
2) Cas des nouvelles thérapies

- Définition des nouvelles thérapies
 - Thérapie Génique
 - Thérapie Cellulaire
 - Ingénierie des tissus
- Dialogue permanent avec les autorités
 - + Plan de développement
 - + Les futurs Guidelines
- Un intérêt croissant des Agences Réglementaires

L'évaluation des connaissances concernant ces nouvelles thérapies se fait en partenariat avec les Agences Réglementaires.

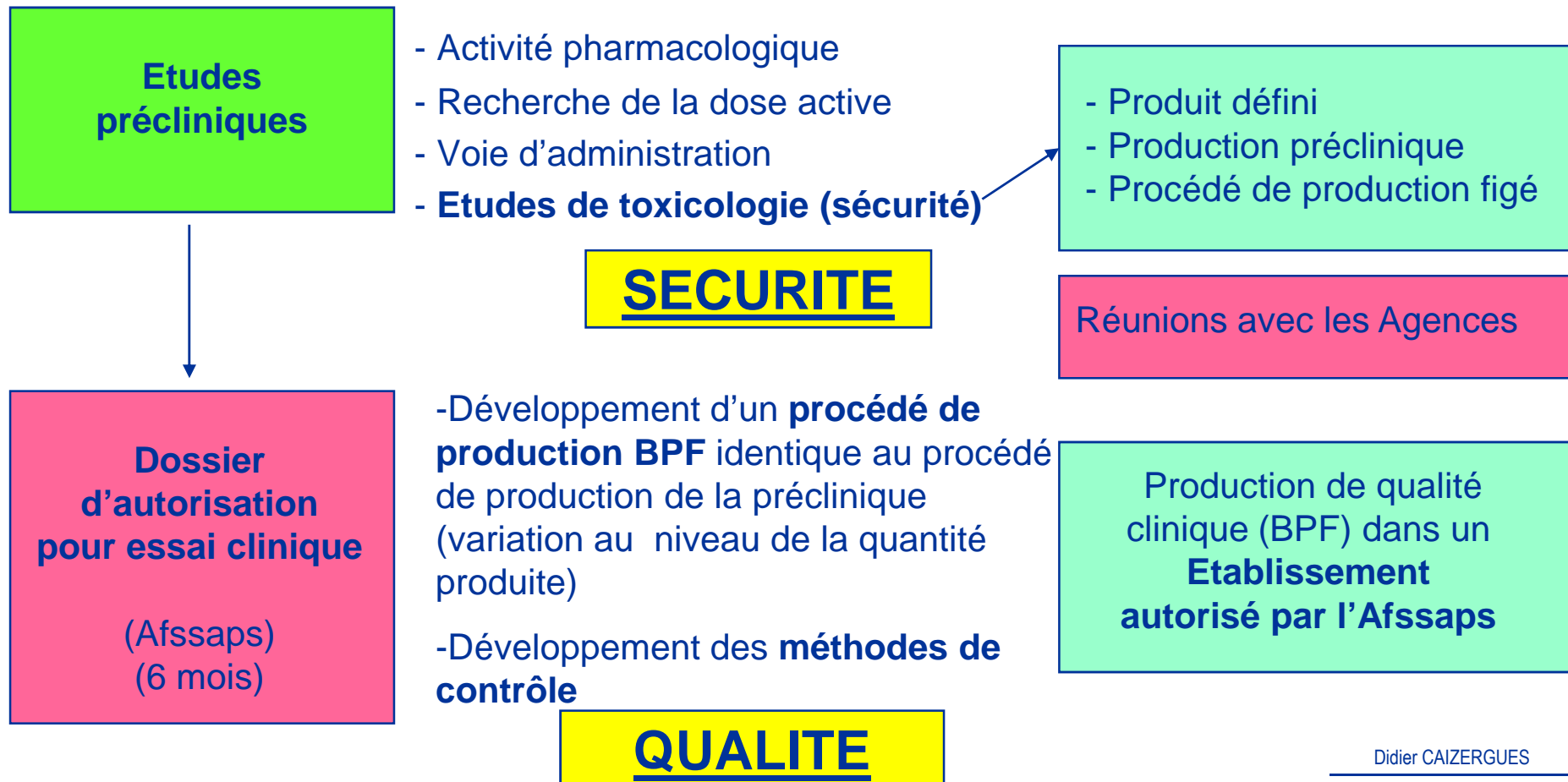
III – Le Chemin du Médicament

✓ La Recherche



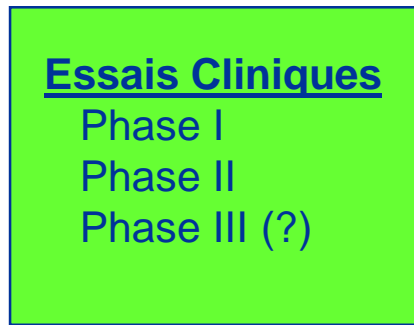
III – Le Chemin du Médicament (suite)

✓ Le Développement préclinique (non clinique)



III – Le Chemin du Médicament (suite)

✓ Le Développement clinique



- Production BPF en quantité suffisante
- Identification d'un centre autorisé à manipuler des produits de T.G. (Organismes Génétiquement Modifiés: OGM)
- Inclusion des malades dans les études (Registre)
- Mise en place de l'essai

EFFICACITE

Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU)

- Autorisations de l'Afssaps
- Mise à disposition plus rapide du médicament au préalable de la finalisation de l'essai clinique (ATU)
- T.G. = Agence Européenne du médicament, autorisation dans les 27 pays européens (environ 1 an)

Autorisation de Mise sur le Marché (AMM)

Prise en charge / Remboursement

IV - L'Autorisation pour les essais cliniques

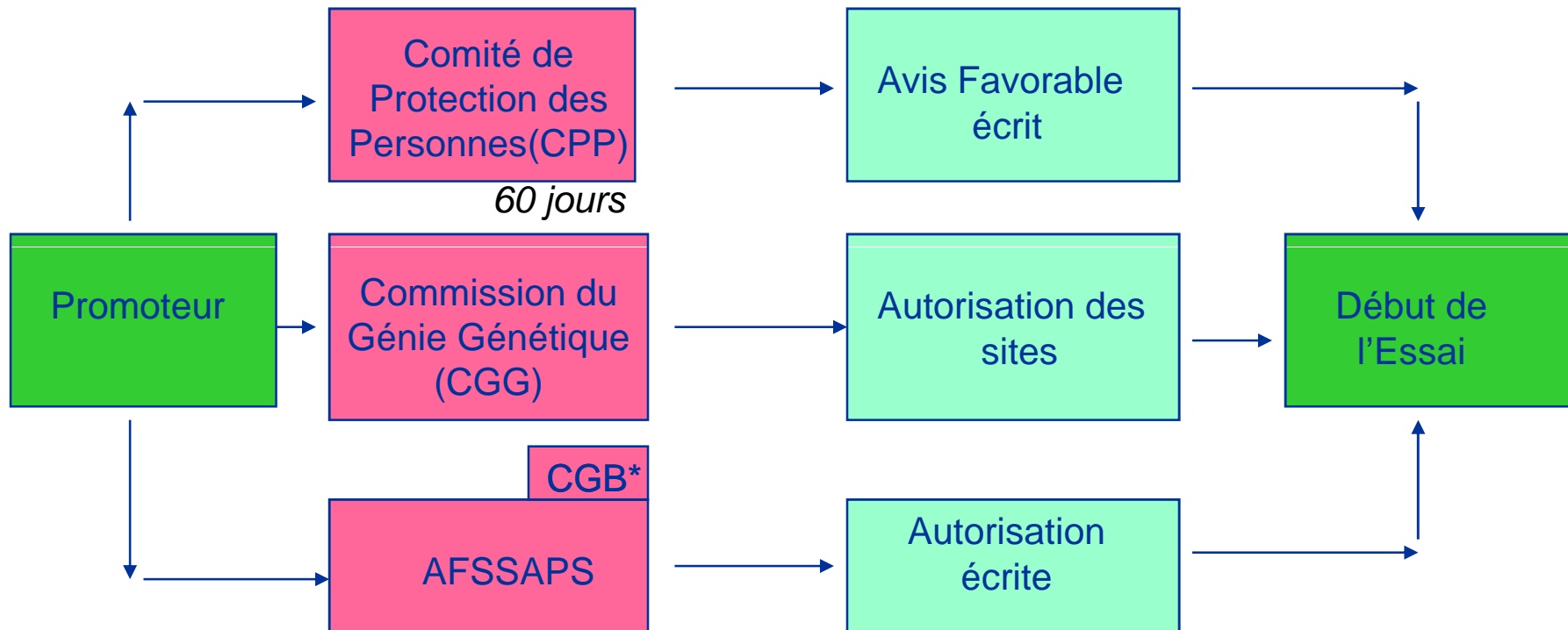
- A déposer auprès des agences nationales :
 - Afssaps pour la France
 - MHRA pour le Royaume Uni

- Evaluation indépendante :
 - possibles questions différentes; contradictoires
 - Difficulté à gérer des études sur plusieurs centres dans plusieurs pays de l'Union Européenne.

- Le Dossier :
 - Eléments administratifs
 - Protocole clinique
 - Eléments d'informations des personnes participant à l'essai
 - Brochure investigateur (BI)
 - Dossier du médicament expérimental (DME)
 - ✓ Etudes de preuve du principe / pharmacologie / recherche de dose ...
 - ✓ Etudes de toxicologie
 - ✓ Information pharmaceutique → Procédé de production
 - Contrôles du produit
 - Information sur l'OGM
 - Sécurité virale

IV - Autorisation pour les essais cliniques

Procédure d'Evaluation du Dossier en France



90 jours + 90 jours car recours à des experts = 180 jours

CGB = Commission du Génie Biologique*

V - Les difficultés les plus fréquentes

- Définir un programme de toxicologie pour les thérapies les plus innovantes
- Disponibilité de modèles animaux pertinents pour la « preuve de principe »
- Qualité pharmaceutique du produit
- Procédé et capacité de production en conditions BPF
- Documentation papier : qualité, rédaction (du cahier de laboratoire au rapport d'étude)
- Autorisation pour les essais cliniques en Europe non harmonisée, alors que l'AMM est harmonisée (1 seul dépôt à l'Agence Européenne)

VI- CONCLUSION

- Nécessité d'une législation plus précise (guidelines en cours de rédaction en 2008)
- Nécessité de rencontrer les Agences réglementaires aux étapes clés du Plan de Développement.
- Nécessité d'un centre de production pouvant produire de façon reproductible avec une capacité de production suffisante.
- Harmonisation du procédé d'autorisation pour essai clinique



MERCI POUR VOTRE ATTENTION

Didier CAIZERGUES

Directeur Département Affaires Réglementaires

Laboratoire GENETHON - Evry