

En bref

Marie-Caroline HUSSON

Rédactrice en chef

En bref

Trois grands types de produits de thérapie innovante sont actuellement définis.

- Les médicaments de thérapie innovante (MTI) regroupent 4 classes de médicaments : médicaments de thérapie génique, médicaments de thérapie cellulaire somatique, produits issus de l'ingénierie tissulaire et médicaments combinés de thérapie innovante.

- Les médicaments de thérapie innovante préparés ponctuellement (MTI-PP) sont une spécificité française. Le produit doit être utilisé dans un hôpital en France pour un malade déterminé et sur prescription médicale.

- Les produits de thérapie cellulaire (PTC) à finalité thérapeutique contiennent des tissus ou des cellules qui ne répondent pas aux définitions des MTI.

Au niveau européen, le cadre réglementaire définissant les MTI est constitué par :

* la directive 2003/63/CE qui crée la classe des « *advanced therapy medicinal product* » (ATMP, en français MTI) ;

* le Règlement européen (CE) N°1394/2007 qui confirme que l'environnement réglementaire applicable aux MTI est celui des médicaments avec AMM, et crée un comité spécifique, le *committee for advanced therapies* (CAT). Ce règlement prévoit une exemption spécifique (« exemption hospitalière ») qui donnera naissance en France aux MTI-PP.

* La directive 2004/23/CE concerne les activités liées aux cellules et tissus qui sont aussi qualifiés en France de PTC.

Le classement d'une nouvelle molécule en MTI, MTI-PP ou PTC est une étape essentielle dans la stratégie d'un développeur. Il va déterminer un certain nombre d'étapes ultérieures, qu'elles soient technico-réglementaires, pharmaceutiques ou cliniques.

Pour fabriquer un MTI ou un MTI-PP, un établissement situé en France doit avoir été préalablement autorisé par l'ANSM. Ces médicaments doivent être en conformité avec la réglementation nationale et internationale.

Sur les quinze demandes d'AMM de MTI soumises à l'EMA jusqu'en décembre 2016, huit ont abouti à l'obtention d'une AMM, dont deux ont été retirées et une a été suspendue.

Les 5 MTI autorisés sont :

- trois médicaments de thérapie génique : Glybera®, Imlygic® et Strimvelis®,
- un médicament de thérapie cellulaire somatique : Zalmoxis®,
- un médicament issu de l'ingénierie tissulaire : Holoclar®.

Les 2 AMM retirées concernent le Provenge® (sipuleucel-T), médicament de thérapie cellulaire somatique, et le ChondroCelect® (chondrocyte autologue), médicament issu de l'ingénierie tissulaire.

L'AMM suspendue est celle de Maci®, MTI combiné issu de l'ingénierie tissulaire.

Les indications et études cliniques de ces MTI sont détaillées dans l'article.

Les MTI, du fait de leur statut de médicaments, relèvent de la responsabilité et du circuit pharmaceutique :

- assurer la qualité du médicament ;
- garantir la sécurité des personnes en contact avec les MTI (personnel, malades et entourage du malade).

Mots-clés : médicament combiné de thérapie innovante, médicament de thérapie innovante préparé ponctuellement, médicament de thérapie cellulaire somatique, médicament de thérapie génique, médicament de thérapie innovante, produit de thérapie cellulaire, produit issu de l'ingénierie tissulaire, réglementation européenne.

Abstract: Advanced therapy medicinal products

Three main types of advanced therapy medicinal product (ATMP or MTI in French) are currently defined.

* Innovative therapy medicines (ITNs) group 4 classes of drugs:

- gene therapy medicinal product
- combined advanced therapy medicinal product
- somatic cell therapy medicinal product
- tissue engineered product

* The ITNs punctually prepared (MTI-PP) are a French specificity.

* Cell therapy products (CTP ou PTC in French) contain tissues or cells that do not meet the definitions of ITNs.

At European level, the regulatory framework defining ITNs consists of:

* Directive 2003/63 / EC, which creates the class of "advanced therapy medicinal product" (ATMP, in French MTI);