



Médicaments de Thérapie
Innovante

MEDICAMENTS



4 catégories définies

- Thérapie cellulaire somatique
- Thérapie génique
- Ingénierie tissulaire
- Combinés de thérapie innovante

Directive européenne 1394/2007 du 13 novembre 2007 transposée dans la Loi n°2011-302 du 22 mars 2011

Décret 2012-1236 du 6 novembre 2012 relatif aux médicaments de thérapie innovante



Thérapie cellulaire = CELLULES

- Contient ou est constitué de cellules ou de tissus qui ont fait l'objet de manipulations substantielles **OU**
- qui ne seront pas destinés à être utilisés dans les mêmes fonctions chez le donneur / le receveur
- Autologue, allogénique ou xénogénique

Exemple : cellules autologues (mononuclées, dendritiques...) activées (I12, GM-CSF...)

Thérapie cellulaire = CELLULES

Prélèvement

Transformation

Réception
Dispensation

PTC
(cellule/tissu)

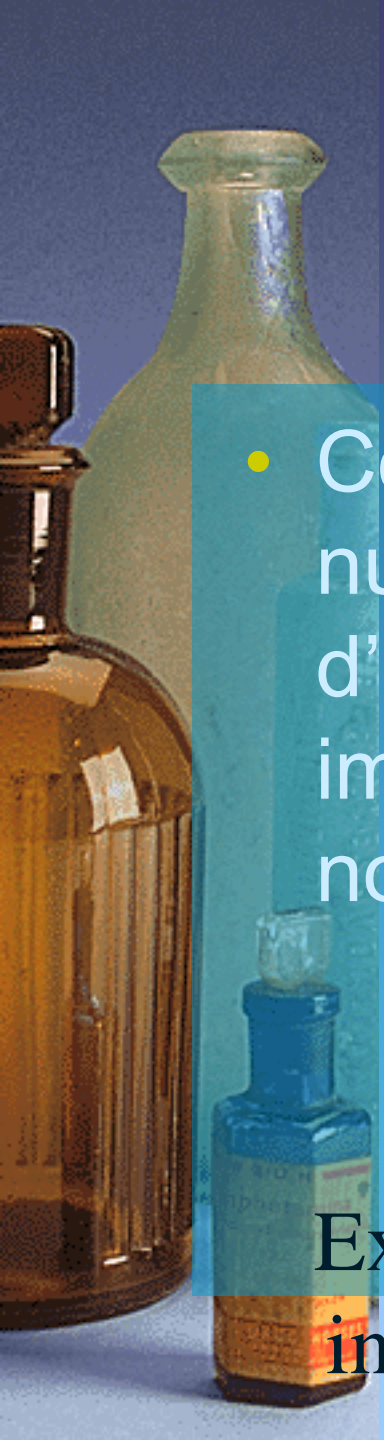
EP

PUI

Thérapie génique = OGM

- Contient ou est constitué d'un acide nucléique recombinant, de séquences d'acide nucléiques. Le transfert du gène implique un vecteur (origine virale ou non)

Exemple : T-Vec ou Oncovex® : injection intratumorale de mélanome non résecable






Ingénierie cellulaire et Combiné

- **Produit contenant ou est constitué au moins de cellules** (viables ou non, humaines ou animales) **ou de tissus issus de l'ingénierie.**
Il peut également contenir des substances supplémentaires, telles que des produits cellulaires, des biomolécules, des biomatériaux, des substances chimiques, des supports ou des matrices
- **Combiné de MTI et de dispositif médical**

Exemple : Cellules CD34 utilisées dans le traitement de l'infarctus du myocarde



Médicaments de Thérapie Innovante

Une nouvelle catégorie de médicaments

AMM octroyées par l'EMA

- ✓ ChondroCelect® (2009) :
Cellules autologues du cartilage indiqué dans les lésions symptomatiques du condyle fémoral du genou

Essais cliniques

Chondrocytes autologues sur une membrane de collagène indiqué dans les lésions du cartilage du genou

Provence® (2013) : Sipuleucel-T

Cellules mononuclées du sang périphérique activées indiquées dans le cancer de la prostate métastatique hormono-résistant asymptomatique ou peu symptomatique

Pourquoi des recommandations professionnelles?

- Ces MTI sont des médicaments et à ce titre relèvent du circuit pharmaceutique.
- Devant l'absence de lignes directrices, les circuits demandés, notamment dans le cadre des essais cliniques, sont très variés.



Des recommandations pour la qualité du médicament

- Répondre aux exigences d'une préparation injectable
- Mettre en œuvre un procédé de préparation qui n'altère pas la qualité du médicament
- Eviter les contaminations croisées



Des recommandations pour la sécurité des patients et des personnels

- Quelles protections collectives et/ou individuelles ?
- Quel circuit logistique ?
- Quels risques biologiques et comment les maîtriser?





Groupe de travail pluridisciplinaire

- P. Arnaud,
- M. Carvalho
- C. Devys
- L. Escalup
- JR. Fabreguettes
- V. Graff
- L. Gilles-Afchain
- F. Griselli
- A. Helvig
- AC. Joly
- F. Lemare
- I. Madelaine
- B. Pourroy
- C. Rioufol
- V. Vanneaux



Groupe de travail pluridisciplinaire

- 2 journées de travail (juin et septembre)
- Document finalisé (octobre)
- Envoi aux relecteurs (fin octobre)
 - Accord de confidentialité
 - Cotation de type HAS
- Synthèse des retours
- Diffusion d'ici la fin de l'année