

Direction de l'Évaluation

Dossier suivi par C Aegerther
Tél : poste 32 73
chantal.aegerther@ansm.sante.fr

Saint-Denis, le 30 mars 2018

**Compte-Rendu de la réunion du sous-groupe
Essais cliniques du Comité d'interface
du 20 juin 2017**

Etaient Présents :

LEEM / Industriels	ANSM
<ul style="list-style-type: none">• Valérie BARAT LEONHARDT / GSK• Jérôme GARNIER / CELGENE• Jocelyne GASTEAU / MSD France• Christian VITZLING / NOVARTIS PHARMA• Fabrice MEILLIER / LEEM	<ul style="list-style-type: none">• Elodie CHAPEL, Directrice de l'Évaluation• Caroline AURICHE, Référent Avis scientifiques• François CUENOT, Coordonnateur animation scientifique• Tô-Quynh GANDOLPHE, Chef de pôle clinique AMM• Annie LORENCE, Référent métier RTU• Françoise MANCEL, Référent métier ATU• Dominique MASSET, Chef de pôle Qualité Pharmaceutique, Sécurité virale et Non clinique• Valérie NADJARIAN, Référent métier Essais cliniques• Laurence FLUCKIGER, Évaluateur réglementaire

Rappel de l'ordre du jour :

1. Introduction
2. Avis scientifiques
3. Sujets et calendrier à venir pour les travaux du groupe
4. Tour de table

Introduction

Après avoir souhaité la bienvenue à tous les participants, Elodie Chapel (EC) laisse la parole à Caroline AURICHE et François CUENOT pour le point Avis scientifiques.

Avis scientifiques

Les présentations s'articulent autour de deux volets :

- Volet national : Dispositifs ANSM d'accompagnement et de soutien à l'innovation
- Volet européen : Outils européens d'accompagnement et d'accès rapide à l'innovation médicamenteuse

Cf. pièces jointes

Comité Interface Innovation

20 juin 2017

Dispositif ANSM d'accompagnement et de soutien à l'innovation

François Cuenot
Coordinateur affaires scientifiques
Direction scientifique et de la stratégie Européenne

Caroline Auriche
Réfèrent Avis scientifiques/Direction de l'Evaluation/ANSM
Scientific Advices Working Party/EMA

Elodie Chapel,
Directrice/Direction de l'Evaluation/ANSM



© École polytechnique - J.Barande

40% des nouveaux médicaments sont issus de PME ou de structures publiques

« *Where do new medicines originate from in the EU?* », Nature Reviews Drug Discovery 13, 92–93 (2014).



© École polytechnique - J.Barande

40% des déposants de brevet en France dans le secteur des DM (hors DIV) sont des PME ou des structures publiques

INPI, étude concernant les brevets dans le domaine des dispositifs médicaux 2000-2010 (mars 2012)



Le soutien à l'innovation: une mission centrale de l'ANSM

- ◆ Inscrit sur la Feuille de Route
- ◆ Reprise des Comités d'interface en 2017
- ◆ Évolution du fonctionnement du **Guichet Innovation** :
 - Séparation claire des expertises DM et médicaments
 - Prise en compte du nouveau règlement Dispositifs médicaux (publication mai sur JOUE)
- Mise à jour du **site internet** en 2017

Le guichet innovation : www.ansm.sante.fr

L'ANSM

> Qui sommes nous?

> Nos activités

> Organisation /
organigramme

> Commissions/Groupes de
travail/Comités

> Déontologie / Expertise

✓ **Guichet innovation**

> **Développement de
dispositifs médicaux**

> Avis scientifique de médicament

> Biomarqueurs

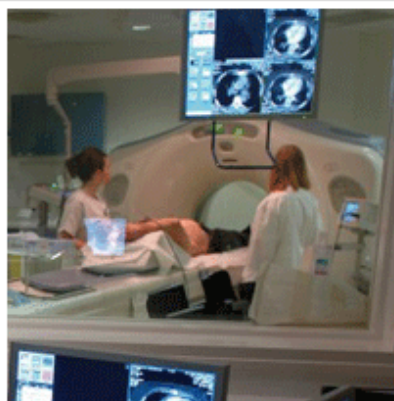
> Nanotechnologies

> Médicaments de thérapie
innovante et préparations
cellulaires à finalité
thérapeutique

> Appels à projets

> Engagement européen et
international

Le développement de dispositifs médicaux



Le développement d'un nouveau dispositif médical peut être long et complexe. Il est nécessaire pour un porteur de projet de connaître parfaitement la réglementation en vigueur et de disposer en interne ou en externe de multiples expertises.

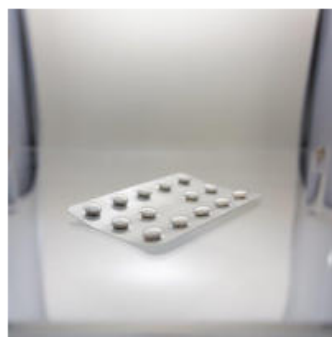
L'ANSM a pour mission d'offrir un accès équitable à l'innovation à tous les patients et de garantir la sécurité des produits de santé tout au long de leur cycle de vie, des essais initiaux jusqu'à leur surveillance sur le marché.

Elle propose dans ce contexte d'interagir avec les porteurs de projets - issus du monde académique, hospitalier ou industriel (start-up, TPE, PME) - engagés dans le développement de dispositifs médicaux innovants et qui n'ont pas l'habitude d'échanger avec les agences réglementaires.

Selon la nature du projet, son degré de maturation et les questions posées, des rencontres peuvent être organisées à l'ANSM. L'organisation d'une rencontre à l'agence n'est pas systématique.

Avis scientifique de médicament / Scientific advice for medicinal products

- [Scientific advice for medicinal products in ANSM \(11/05/2017\)](#) (165 ko)
Information on eligibility criteria, regulatory frame, and procedure details



Le périmètre de l'Avis scientifique

L'ANSM organise des réunions d'Avis scientifiques pour apporter des réponses aux questions scientifiques des Demandeurs sur le développement de médicaments, dans toutes les gammes thérapeutiques, quel que soit le stade du développement ou la nature des questions :

- qualité/non-clinique/Clinique pharmacocinétique, toxicologie, pharmacologie,
- méthodologie, statistique, bénéfice, risque...
- les questions concernant le maintien de la désignation orpheline et le "Significant Benefit" peuvent également être discutées pour les médicaments orphelins

En dehors de problèmes spécifiques relatifs à la formulation du produit, les avis donnés à un stade du développement correspondant au moins à la Preuve de Principe non clinique sont plus profitables.

Guichet innovation DM : pour qui ?

- ✓ s'adresse aux structures qui n'ont pas l'habitude d'échanger avec les autorités compétentes...

- ⇒ laboratoires académiques
- ⇒ équipes hospitalières
- ⇒ startups
- ⇒ TPE, PME



- ✓ ... et qui développent des innovations de rupture

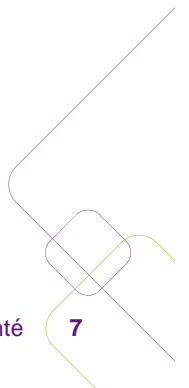
- ⇒ dispositifs médicaux
- ⇒ dispositifs médicaux de diagnostic in vitro



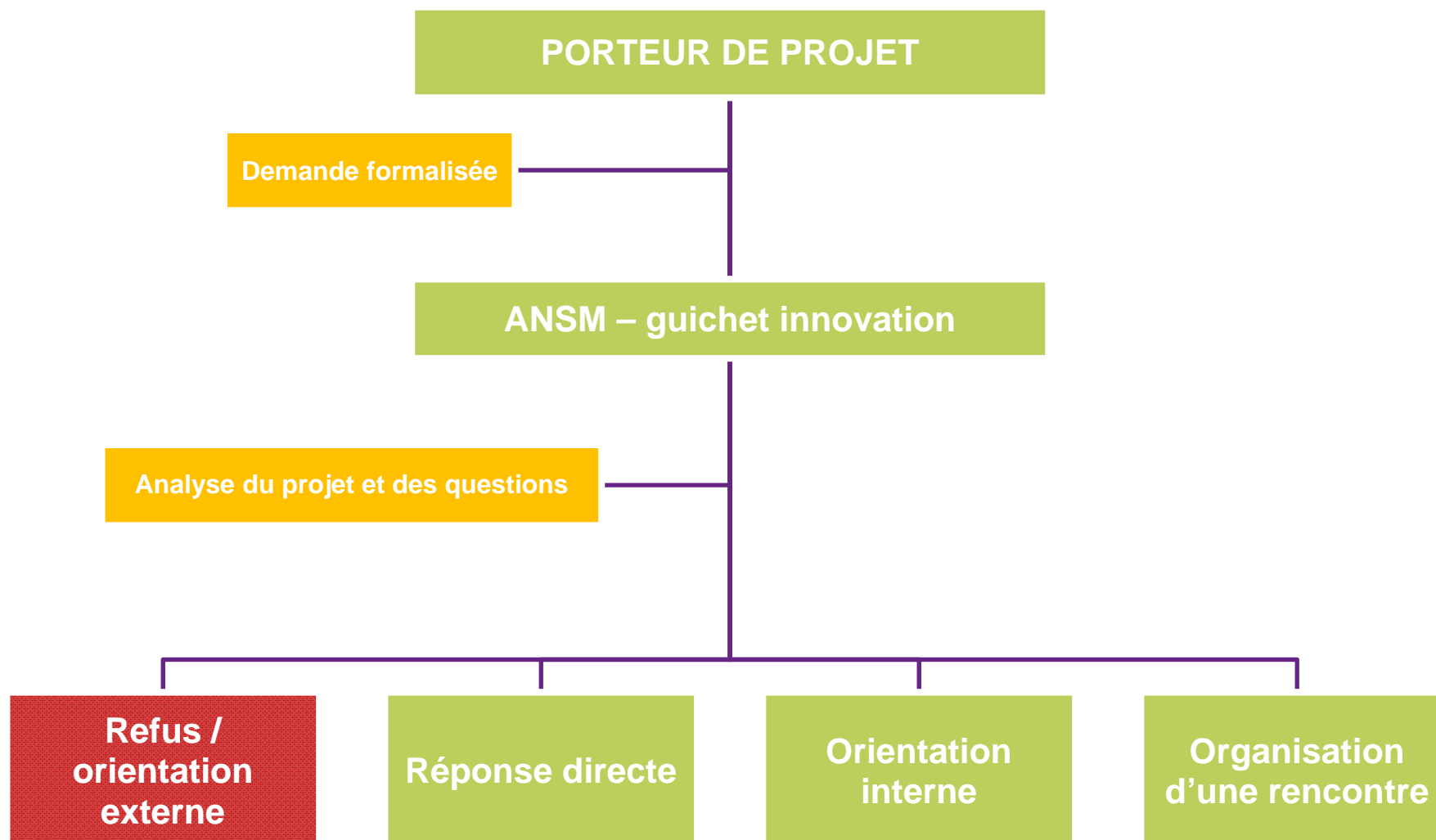
Guichet innovation DM : objectifs

- ◆ Pour le porteur de projet
 - **appréhender au plus tôt** le parcours réglementaire
 - **apporter un éclairage ponctuel** réglementaire et scientifique
 - sans préjuger des décisions futures

- ◆ Pour l'ANSM
 - **anticiper** les DM innovants à évaluer
 - **anticiper** les spécificités de l'évaluation de ces DM



Guichet innovation DM : en pratique





Guichet innovation DM : prérequis

- ◆ nécessité de disposer d'un **dossier complet et structuré**
 - ⇒ formulaire innovation
 - ⇒ document de présentation du projet
 - ⇒ procédure et documents sur le site internet de l'ANSM
- ◆ questions
 - ⇒ **pertinentes, précises et justifiées**
 - ⇒ position du demandeur
- ◆ **priorisation des rencontres** en lien avec les directions

L'ANSM ne fait pas de consulting, ne valide pas le plan de développement

Le porteur du projet reste seul maître du développement



Guichet innovation : actions proactives

- ◆ Organisation de **journées d'information à l'ANSM**
 - ◆ développement de DM : analyse de risque, évaluation clinique
 - ◆ logiciels dispositifs médicaux

- ◆ Participation à des **colloques, tables rondes** en lien avec l'innovation en santé

- ◆ **Interactions avec d'autres organismes**
 - ◆ SATT, incubateurs
 - ◆ ANR, AVIESAN, BPI France, DGE
 - ◆ Commission européenne (New and Emerging Technologies)

- ◆ **Coordination de travaux sur l'impression 3D : impact du règlement DM pour les établissements de santé**



Avis scientifiques de médicaments: en pratique

- ◆ Dans les locaux de l'ANSM
- ◆ Experts internes et/ou externes
- ◆ 2 « slots » par mois (semaine entre SAWP et CHMP)
- ◆ Rencontres 90-120 minutes - 6 questions maximum
- ◆ Briefing book + lettre de demande modèle EMA au moment de l'envoi du mail (demande exclusivement dématérialisée)
 - Recevabilité de la demande
 - Identification de l'expertise pertinente
 - Vérification disponibilité experts
- ◆ Réponse sous 10 jours
- ◆ Présentation envoyée 3 semaines avant la date de la réunion
- ◆ Proposition de Minutes par le demandeur, validées ANSM

Avis scientifiques de médicaments : périmètre

Sont acceptés:

- ◆ Toutes gammes thérapeutiques (mais disponibilité variable selon les gammes, ex. oncologie)
- ◆ Tous stades du développement
- ◆ Tous domaines d'expertise
 - Qualité chimie ou biologique,
 - ATMP (thérapie cellulaire ou génique),
 - non clinique (pharmacologie, toxicologie)
 - PK
 - Biostatistique
 - Efficacité/sécurité
- ◆ Plans de développement globaux
- ◆ Éléments clefs de protocoles (phases 1 à 3)
- ◆ Préparation questions demande d'avis auprès de l'EMA/SAWP (y compris Significant Benefit)



Avis scientifiques de médicaments : périmètre

Ne sont pas acceptés

- ◆ Réunion de pré-soumission de demande d'autorisation d'essai clinique (à faire auprès de la Direction Produits concernés)
- ◆ Réunion de pré-soumission avant dépôt de demande d'AMM (à faire auprès de la Direction Produits concernés)
- ◆ Réponse existe dans les Guidelines (ANSM n'est pas une société de conseil)
- ◆ Les demandes d'évaluation préalables des données
- ◆ Demande déposée ou avis déjà donné par EMA pour la molécule ou une molécule similaire dans l'indication
- ◆ Rapporteurs désignés par le CHMP



Avis scientifiques de médicaments : particularités

- ◆ Ressources limitées en comparaison des autres Agences nationales,
- ◆ Spécificité Française:
 - pas de redevance
 - Objectif = accès plus rapide du patient à l'innovation
 - → uniquement besoin médical non couvert/avancée thérapeutique majeure
 - En particulier maladies rares et/ou développement pédiatrique
- ◆ « safe-harbour » « brainstorming » autour d'un point délicat, si réponse absente des guidelines ou si argumentaire pour s'écarter de la guideline
- ◆ Cohérence avec les avis du SAWP (innovation = AMM centralisée)
- ◆ Possibilité d'accompagnement jusqu'au SAWP (identification des points à discuter, candidature au coordinatorship)



Avis scientifiques de médicaments : Cadre réglementaire

- ◆ Le Demandeur est libre de déposer ou non une demande
- ◆ L'ANSM est libre de refuser une demande
- ◆ Avis donné sur la base des connaissances scientifiques du moment
- ◆ Recommandations données par les experts de l'ANSM sont des opinions personnelles d'experts
- ◆ Engageant ni pour le Demandeur ni pour l'ANSM
- ◆ Toutefois le non respect des recommandations est à discuter dans le dossier de demande d'autorisation d'essai clinique (ou d'AMM si il y a lieu)

Avis scientifiques de médicaments: bilan 2016-avril 2017

15 avis scientifiques, dont

- ◆ 10 SME-Biotech, dont 4 françaises, 4 USA, 1 Israélienne, 1 Allemande
- ◆ 2 Académiques
- ◆ 6 France (2 Académiques , 4 Biotech)
- ◆ 12 besoin médical non couvert, 1 avancée thérapeutique significative, 1 premier biosimilaire d'actilyse.
- ◆ 9 maladie rare (incidence < 1/2000 naissances)
- ◆ 2 thérapies ciblées
- ◆ 5 ATMP: 2 thérapies géniques, 3 thérapies cellulaires (dont une combinée DM implantable)
- ◆ 4 produits chimiques, 6/15 produits biologiques
- ◆ 3 oncologie, 4 hématologie, 3 neurologie, 2 maladies infectieuses, 1 cardiologie, 2 maladies génétiques métaboliques

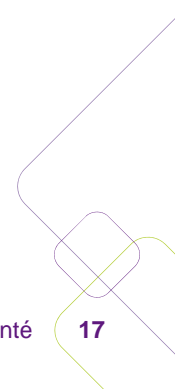


Merci de votre attention

Des Questions?

françois.cuenot@ansm.sante.fr

caroline.auriche@ansm.sante.fr



Comité Interface Innovation

20 juin 2017

Outils Européens d'accompagnement et d'accès rapide à l'innovation médicamenteuse

Caroline Auriche
Réfèrent Avis scientifiques/Direction de l'Evaluation/ANSM
Scientific Advices Working Party/EMA

1 Cadre Européen d'accès précoce à l'innovation

◆ IMI (Innovation Medicines Initiative)

- Initiative Européenne public-privé (Régulateurs, Industrie, Académiques, Association Patients) pour accélérer l'accès aux thérapies innovantes
- Focus sur besoin médical ou social non couvert. Focus SMEs.
- Financement Européen par Horizon 2020 (prog Europ recherche et Innovation).

◆ STAMP (Safe and Timely Access to Medicines for Patients)

- Groupe d'experts Commission Européenne; coopération entre états-membres.
- Synergie projets EMA, HTA network EUnetHTA, SEED consortium (Shaping European Early Dialogue for HTA), CAPR
- Emet recommandations, commente Guidelines en préparation

◆ Outils réglementaires pour Accès précoce à l'Innovation

◆ Structures de soutien à l'Innovation



4 outils réglementaires d'accès précoce à l'innovation

- **AMM conditionnelle**: accès précoce avec développement classique et engagements spécifiques/unmet medical need
- **Adaptive Pathways to Patients** : développement accéléré, Unmet Medical Need, itérations, données de vie réelle, HTA/payeurs
- **Accelerated assessment (AA)**: Evaluation accélérée/Intérêt Majeur Santé Publique
- **Projet PRIME** : processus optionnel intégré d'optimisation de AA

Outils N° 1: Accès précoce dans le développement: « Conditional approval » et « circonstances exceptionnelles »

◆ *AMM conditionnelle*

- ◆ Besoin médical non couvert
- ◆ Gravité/urgence
 - **Maladie sévèrement invalidante ou mettant en jeu le pronostic vital,**
 - ou produit orphelin
 - Ou *urgence* de santé publique
- ◆ Données incomplètes (surrogate/biomarker PD, court-terme....)
 - Incertitudes (maintien efficacité/sécurité long-terme) mais B/R positif
 - Bénéfice pour Santé publique (ex. vaccin, ATB, antidote....) > incertitudes
- ◆ Engagement à fournir (et plausibilité fourniture) des données complémentaires
- ◆ Réévaluation annuelle

◆ *AMM sous circonstances exceptionnelles*

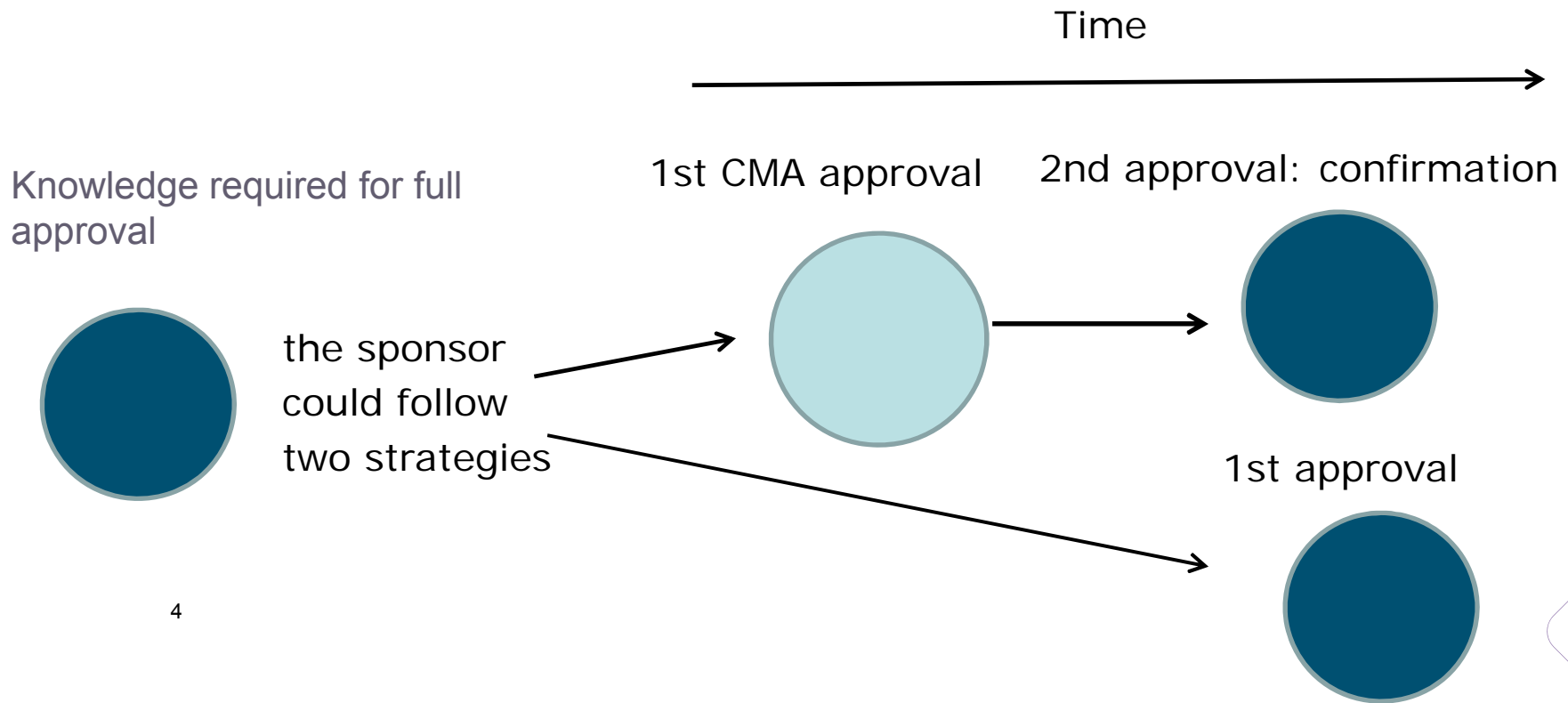
- ◆ Mêmes critères
- ◆ Condition si rare/bénéfice sur critère dur à si long-terme que données complètes impossibles à fournir lors AMM
- ◆ Réévaluation annuelle



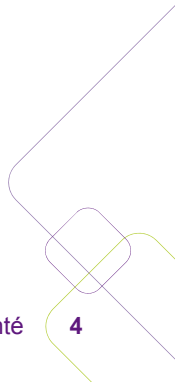
Conditional approval

“expansion of the level of proof”

D'après EMA



4





Outil N° 2: développement accéléré

Concept MAPP (Medicines Adaptive Pathways to Patients)

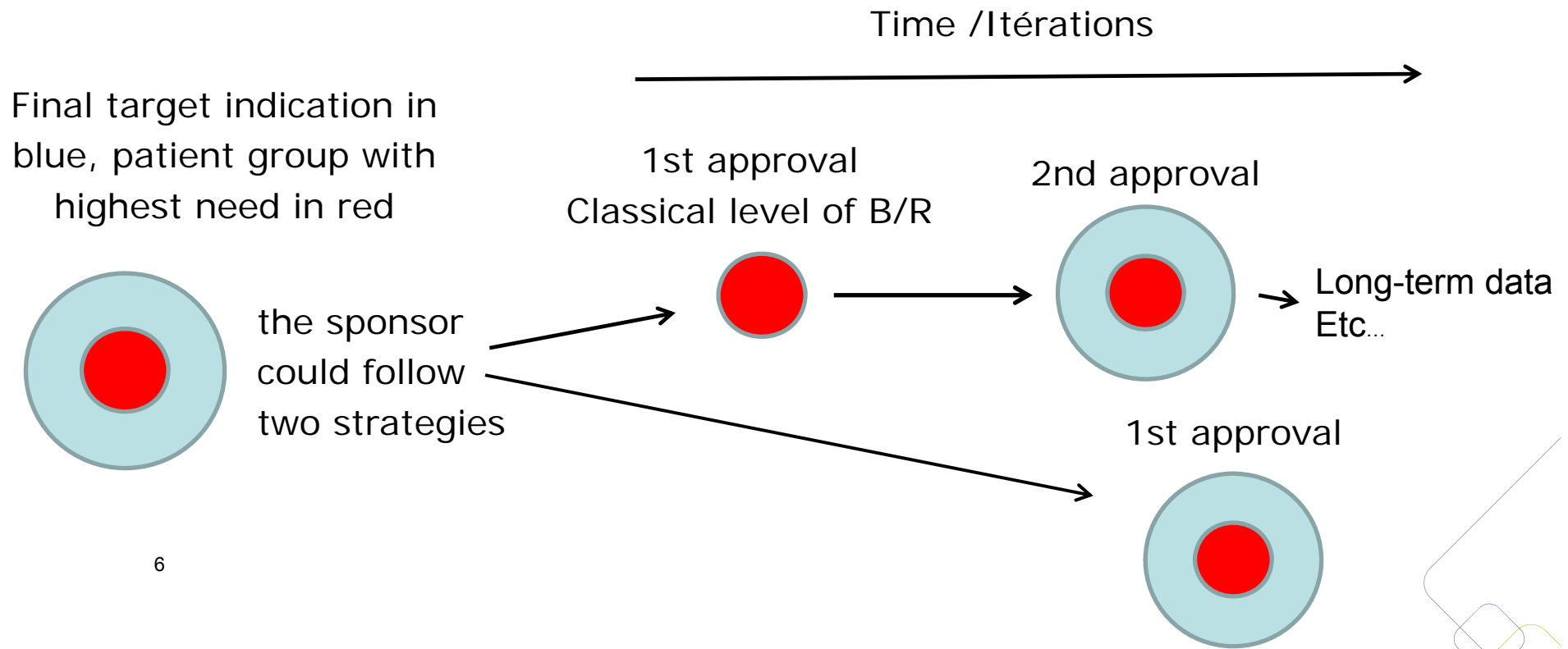
- ◆ **Besoin médical non couvert** (pas de critère de pronostic vital/invalidant)
- ◆ Plan de développement **itératif**
 - AMM initiale dans population restreinte puis expansion population
 - OU
 - AMM conditionnelle (par ex. sur surrogate ou efficacité court-terme) et confirmation ultérieure par commitments itératifs
- ◆ Données itératives **en vie réelle** ± RCT
- ◆ Plausibilité de la soumission des données itératives
- ◆ Plausibilité de l'absence d'utilisation « Off-label » entre les itérations
- ◆ Dialogues avec **tous les partenaires pertinents**, particulièrement HTA (« Fondamental » → accès non retardé et abordable)

→ Utilisation optimisée et intégrée d'outils et procédures existantes

Adaptive pathways concept

"expansion of the indication"

D'après EMA

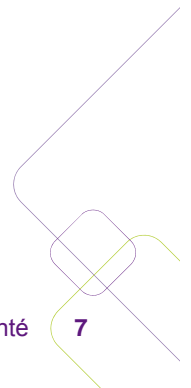


6



Medicines Adaptive Pathways to patients

- ◆ 61 produits soumis dans le pilote entre mars 2014 et mai 2015
- ◆ 19 produits sélectionnés pour le pilote,
- ◆ Principales raisons du rejet :
 - développement trop avancé,
 - peu d'itérations,
 - pas de proposition de données de vie réelle crédible



MAPP - PROJET ADAPT-SMART

Accelerated développement of Appropriate therapies-Sustainable Multistakeholders Approach from Reaseach to Treatment outcome)

- ◆ Mission = Mise en œuvre du concept MAPP dans le cadre du IMI2
 - résolution de l'équation accès rapide versus niveau d'incertitude
 - solution intégrée (processus AMM, post-AMM, remboursement, prix)
- ◆ Géré par ADAPT-SMART Consortium réunissant des bonnes volontés
 - EU adaptive pathways team
 - US Newdigms team
 - UK EAMS (early access to Medicine Scheme)
 - IMI projects teams (projects imagined by STAMP)
 - → Patients, académiques, régulateurs, HTA, payeurs, industrie
- ◆ 3 work packages - DIR-EVAL dans WP2



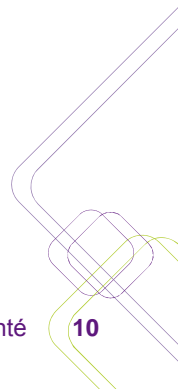
Outil N° 3

Evaluation accélérée « Accelerated assessment »

- ◆ Evaluation accélérée (150jrs vs 210)
- ◆ « Intérêt majeur pour la santé publique »:
 - ◆ Besoins médicaux importants non couverts
 - ◆ Avancées thérapeutiques majeures avec impact majeur sur la pratique clinique
- ◆ Expliquer comment répondra au besoin non couvert
- ◆ Pre-submission meeting 6-7 mois avant soumission AMM
- ◆ Soumission de données pré-définies lors d'avis scientifiques à étapes clefs
- ◆ Tous comités/WP de l'EMA sur tous les aspects du développement
- ◆ SAWP coordonne et assure la cohérence
- ◆ Redevances réduites focus SMEs et secteur académique

Outil N° 4: Projet Priority Medicines (PRIME scheme) Optimisation du processus d'accelerated assessment

- ◆ Eligibilité : critères de Accelerated Assessment (Intérêt majeur Santé Publique = UMN et/ou avancée thérapeutique majeure)
- ◆ Apporter preuve de la capacité à couvrir le besoin
- ◆ Avis scientifiques itératifs aux étapes clefs du développement
- ◆ Soumission des données correspondantes au fil de l'eau
- ◆ Nomination précoce Rapporteur/co-Rapporteur
- ◆ Tous comités/working parties EMA impliquées en tant que de besoin
- ◆ Demande 6+ mois en avance





Critères d'éligibilité en pratique

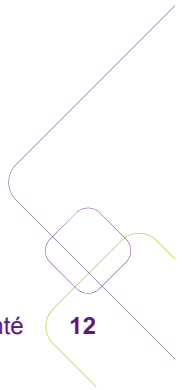
- ◆ **Besoin medical non couvert, avancée thérapeutique majeure**
 - Données épidémiologiques
 - Description du Standard of Care

- ◆ **Potentiel à répondre au besoin non couvert**
 - Description du mécanisme d'action, effecteurs, bénéfices attendus
 - Discuter l'amélioration escomptée sur l'existant

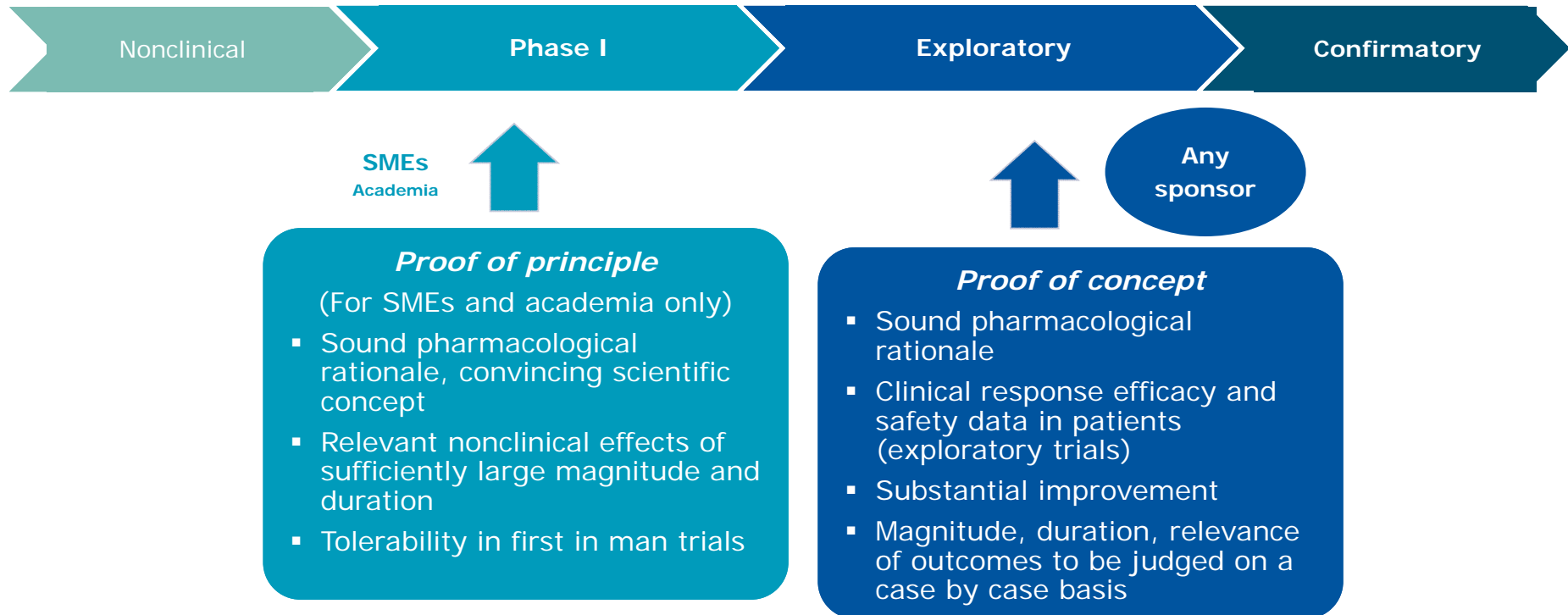


Expérience éligibilité

- ◆ Un certain nombre de soumissions tard dans le développement
- ◆ La plupart des soumissions contenaient des données cliniques exploratoires
- ◆ Nombreuses demandes de clarification sur les refus
- ◆ Quelques resoumissions



Entry points PRIME eligibility and required evidence





Entrée au niveau de la preuve de concept

◆ C'est la règle:

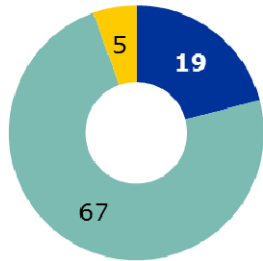
- Données cliniques d'efficacité convaincantes (« compelling »)
- Données de sécurité rassurantes
- À des expositions transposables à celles qui résulteraient de la dose recommandée chez l'homme

◆ Exception pour académiques/SME → preuve de principe

Motifs de refus

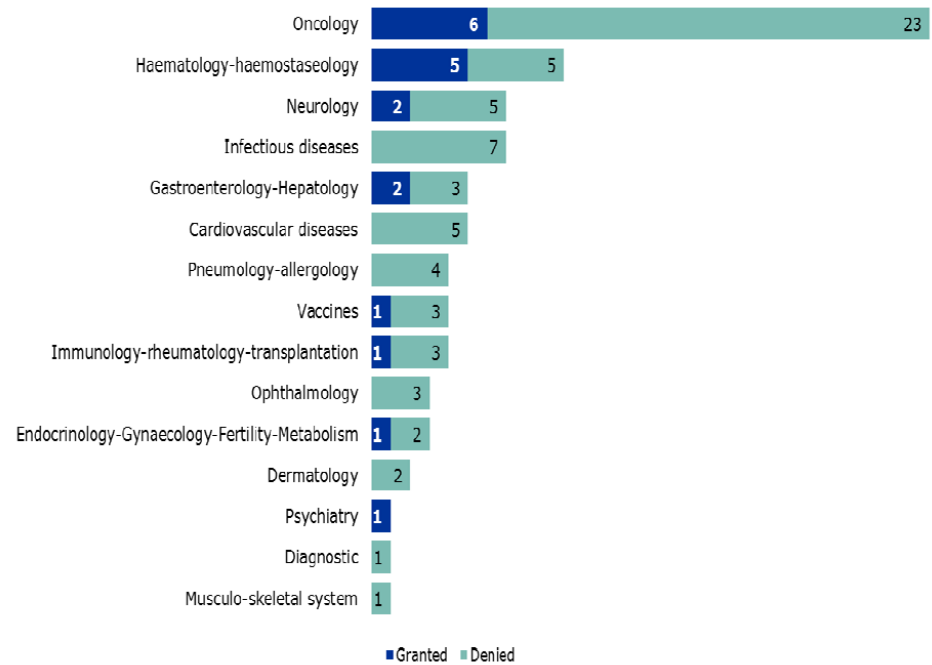
- ◆ **Stade tardif** : en principe OUI
- ◆ **Autres produits en développement plus prometteurs?** → Non
- ◆ **Extrapolation de l'éligibilité depuis d'autres indications?** → Non
- ◆ **Acceptation d'un produit similaire?** → cas d'un ATMP ciblant la même indication qu'un produit accepté, mais vecteur différent
- ◆ Cas d'un « **2nd in class** », mais cible également une petite population résistante au First in class, → solidité des données en faveur de l'efficacité dans la petite population?
- ◆ Produit similaire en **cours d'évaluation au CHMP**.
- ◆ **Literature-based?** → Pas rejeté à priori mais qualité ++++
- ◆ Safety signal? → Prise en compte si de nature à remettre en Q le UMN.

PRIME eligibility recommendations adopted by 15 June 2017



■ Granted ■ Denied ■ Out of scope*

~ 120 eligibility requests
 26 granted* (19 as per end March)
 ~ 50% SMEs
 >50% orphan
 > 50% Advanced therapies



2 Cadre européen de soutien à l'innovation

- ◆ SME initiative
- ◆ EU Innovation network - Innovation Task force
 - ◆ ITF meeting
 - ◆ Direction evaluation membre
- ◆ Certification ATMPs
- ◆ Avis scientifiques / protocol assistance
- ◆ Orphan designation
- ◆ PIP

SME initiative

- ◆ Promouvoir l'Innovation venant des Biotechs, académiques....
- ◆ Classification
 - ◆ Selon % du capital partagé par d'autres Sociétés
 - ◆ La taille
 - ◆ Les unités de travail annuelles
 - ◆ L'équilibre budgétaire
- ◆ Assistante réglementaire et administrative : sme@ema.europa.eu
- ◆ 90% réduction des redevances pour avis scientifique, délai pour A%MM
- ◆ Certification des données qualité et non cliniques pour les ATMP
- ◆ Traduction gratuite des RCP, MedRa gratuit

Innovation Task Force – EU Innovation network

- ◆ Réseaux des guichets Innovations. Direction Evaluation membre
- ◆ Plate-forme de dialogue informel avec l'EMA (ITF meetings)
- ◆ Renseignement à ITFsecretariat@ema.europa.eu
- ◆ Qualifications
 - ◆ ATMP : advancedtherapies@ema.europa.eu
 - ◆ Produits frontières
- ◆ Aide au développement (ITF meetings)
 - ◆ Médicaments innovants : certifications ATMP
 - ◆ Nouvelles technologies (nano, e-Health)
 - ◆ Nouvelles approches scientifiques (biomarqueurs, modèles non cliniques, omics, modelling et simulation,

Avis scientifiques EMA (SAWP validés CHMP)

- ◆ 3 membres ANSM dont 1 Direction evaluation
- ◆ Aide au développement quelle que soit la future procédure AMM
 - ◆ Un produit,
 - ◆ une indication (broad advice),
 - ◆ un biomarqueur...
- ◆ Tous les aspects du développement
- ◆ Avis parallèles HTA; avis communs FDA
- ◆ Optionnel → Recommandations, mais justifier écarts majeurs
- ◆ Outil de brainstorming et d'échanges, part. si écart des guidelines; reflet état de la pensée scientifique du groupe d'expert à l'instant t;
- ◆ Gratuit pour pédiatrie et Orphelins, 90% réduction pour SMEs
- ◆ Pas de garantie d'AMM mais relation positive avec issue favorable demande AMM démontrée

Mesures d'incitation maladies rares

- ◆ Désignation Orpheline auprès du COMP (prévalence 1/2000, UMN avec pronostic vital en jeu ou très invalidant)
- ◆ Mesures Incitatives
 - ◆ 10 ans exclusivité marché,
 - ◆ Gratuité AS, réductions autres activités réglementaires
 - ◆ Accès direct procédure centralisée
- ◆ Critères revus au moment évaluation AMM
- ◆ « Significant Benefit » sur autres spécialités enregistrées à démontrer pour maintien statut orphelin et ses avantages



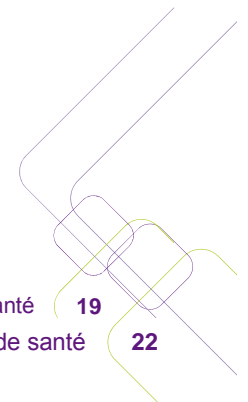
Règlement pédiatrique

◆ Directive 2006 :

- **PIP** obligatoire lors du développement nouvelle entité chimique, toute nouvelle indication, nouvelle forme pharmaceutique, nouvelle voie d'administration;
- soumission des données correspondantes obligatoire pour octroi AMM correspondant;
- exemptions ou délai possibles; ne concerne pas génériques, biosimilaires etc...

◆ Incitatifs

- 6 mois exclusivité additionnels
- 2 ans pour orphan (en plus des 10 ans)





GLOSSARY

- ◆ AA: Accelerated assessment
- ◆ ADAPT-SMART : Accelerated Development of Appropriate Patient Therapies a Sustainable, Multi-stakeholder Approach from Research to Treatment-outcomes
- ◆ ADME : Absorption/Distribution/metabolism/elimination
- ◆ ANSM : Agence Nationale de Sécurité du Médicament
- ◆ ATB : Antibiotique
- ◆ ATMP : Advanced Therapy Medicinal Product
- ◆ B/R : Benefit/risk ratio
- ◆ CAT : Committee for Advanced Therapies
- ◆ CHMP : Committee for Human Medicinal Products
- ◆ COMP : Committee for Orphan Medicinal Products
- ◆ CMA : Conditional Marketing Authorisation
- ◆ CP : Centralised Procedure
- ◆ DCP : Decentralised Procedure
- ◆ EMA : European Medicines Agency
- ◆ EU : European Union
- ◆ EUNetHTA : European network for Health Technology Assessment
- ◆ GCP : Good Clinical Practice
- ◆ GLP : Good Laboratory Practice
- ◆ GMP : Good Manufacturing Practice
- ◆ hERG : human eag-related gene, member of the eag(ether-a-go-go) potassium channel family
- ◆ HTA : Health Technology Assessment
- ◆ IMI : Innovative Medicines Initiative



GLOSSARY

◆ ITF :	Innovation Task Force
◆ MA :	marketing Authorisation
◆ MAA :	Marketing Authorisation Application
◆ MAPP :	Medicines Adaptive Pathways to Patients
◆ MRP :	Mutuel Recognition Procedure
◆ NCA :	National Competent Authority
◆ NOAEL :	No Observed Adverse Effect Level
◆ PK :	Pharmacokinetics
◆ PD :	Pharmacodynamics
◆ PDCO :	Paediatric Committee
◆ PIP :	Paediatric Investigation Plan
◆ PRAC :	Pharmacovigilance Risk Assessment Committee
◆ PRIME :	PRiority Medicines
◆ QT :	Prolonged QT interval on ECG.
◆ RCT :	Randomised Clinical Trial
◆ RMP :	Risk Management Plan
◆ SA :	Scientific Advice
◆ SAWP :	Scientific Advice Working Party
◆ SEED :	Shaping European Early Dialogues
◆ SME :	Small & Medium En
◆ STAMP :	Safe and Timely Access to Medicines for Patient expertgroup



Merci de votre attention

Des Questions?

caroline.auriche@ansm.sante.fr

