

## Comité d'interface dédié aux médicaments de thérapie innovante Compte rendu de la séance du 2 octobre 2020

---

### Membres présents

Pr. Florence SABATIER (représentée par Dr Julie VERAN) – CHU Marseille AP-HM  
Pr. Jérôme LARGHERO – Centre Meary Paris APHP  
Dr. Elisa MAGRIN (représentée par Dr Olivier JUST) – CHU Necker Paris APHP  
Pr. Danièle BENSOUSSAN – LEJZEROWICZ – CHU Nancy  
Pr. Brigitte DRENO – CHU Nantes  
Dr. Camille GIVERNE – CHU Rouen  
Dr. Céline AUXENFANTS – CHU Lyon  
Dr. Valérie LAPIERRE – Institut Gustave Roussy Villejuif  
Pr. John De VOS – CHU Montpellier  
Pr. Christian CHABANNON (représenté par Dr Boris Calmels) – Institut Paoli Calmettes Marseille  
Pr. Julie KERR CONTE - CHU Lille  
Dr. Anne Christine MENDES – CTSA  
Dr. Anne FIALAIRE-LEGENDRE – EFS Siège  
Dr. Thomas BOREL et Dr. Ariane GALAUP PACI – LEEM  
Olivier CHABANON (représenté par Dr Valérie SALENTEY) – France Biotech

### Pour la direction générale de l'ANSM

Dr. Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL

### Participants de l'ANSM

Lotfi BOUDALI, Caroline MATKO, Elodie BOUSQUET - ONCOH  
Alban DHANANI – INFHEP  
Marc MARTIN, Camille SCHURTZ – DPAI  
Carole LE-SAULNIER, Nadine SPIELVOGEL – DAJR  
Vincent GAZIN, Solène MAITENAZ, Violaine CLOSSON – CPSE  
Bernard CELLI, Beatrice PANTERNE, Guillaume VAQUER - DI

### Secrétariat du comité

DI, Guillaume VAQUER

## Ordre du jour réalisé

- I – Mot d'introduction par la Direction Générale
- II - Présentation du règlement intérieur
- III - Définition du périmètre des échanges et des thèmes abordés
- IV - Tour de table, recueil des attentes
- V - Modalités de représentation des parties prenantes
- VI - Présentation du - Guichet Innovation - de l'ANSM
- VI - Dates des réunions en 2021

La séance est ouverte à 14 heures, sous la présidence de Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL.

En préambule, Bernard CELLI précise qu'il s'agit aujourd'hui d'une séance d'installation.

## Introduction

---

Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL rappelle le contexte de la genèse de ce comité.

Depuis 2007 la réglementation européenne a instauré un statut particulier à une nouvelle catégorie de médicaments biologiques, les médicaments de thérapie innovante (MTI) et y associe des règles spécifiques. Le règlement CE n°1394/2007 définit sous ce terme les médicaments de thérapie cellulaire somatique, les médicaments issus de l'ingénierie tissulaire, et les médicaments de thérapie génique, éventuellement couplés à des dispositifs médicaux.

Les médicaments de thérapie innovante sont issus de procédés de production le plus souvent complexes, qui nécessitent des expertises techniques et des lieux de production dédiés. La fabrication des MTI est possible aujourd'hui grâce à des filières de R&D et de production adaptée, parmi les plus innovantes dans le milieu de la santé. L'ANSM est une des autorités compétentes pour cette filière et elle intervient sur les autorisations et la surveillance des innovations thérapeutiques, au plus près des besoins des patients, et notamment au niveau du développement préclinique, des essais cliniques et de la production des MTI.

En France, plusieurs établissements publics et privés sont reconnus comme des leaders dans ce domaine et s'appuient sur des compétences, des expertises et des infrastructures de pointe pour mettre à disposition ces traitements pour les patients, le plus souvent dans des traitements destinés aux maladies rares.

Dans ce contexte et avec l'objectif de favoriser les échanges directs et d'instaurer des partages d'informations réguliers et constructifs, l'ANSM propose d'installer un comité d'interface dédié aux médicaments de thérapie innovante (MTI). Ce comité vise également à intégrer dans nos échanges les établissements publics et les start-up qui se positionnent fortement sur la mise à disposition des MTI et ne participent pas à ce jour au Comité d'interface avec les représentants des industries des médicaments déjà installé

Elle ajoute que l'objectif est d'améliorer la collaboration des autorités avec les parties prenantes afin de permettre un accès rapide aux thérapeutiques dans un environnement sécurisé.

## **Présentation du règlement intérieur**

---

Carole LE SAULNIER présente les principes généraux des comités d'interface déjà en place au sein de l'ANSM.

L'interface avec les parties prenantes impliquées dans les produits de santé s'exerce à travers les Comités d'interface pour permettre des discussions sur des questions d'ordre général et de manière transparente avec les associations de patients et d'usagers, les représentants des professions de santé, ainsi que les représentants des industries des produits de santé.

Les comités d'interfaces visent notamment à faciliter les échanges d'informations, proposer les mesures de nature à favoriser l'accès à l'innovation en apportant toutes les garanties de sécurité nécessaire dans le respect des règles européennes et au bénéfice du patient, ainsi que de mettre en œuvre les mesures de simplification visant à l'amélioration des processus.

Les comités d'interface se réunissent au moins deux à trois fois par an sur convocation de son Président, le Directeur général de l'ANSM. Les ordres du jour des séances des comités d'interface sont préparés par l'ANSM mais les sujets demandés par les parties prenantes sont inscrits de droit, et les comptes rendus sont envoyés à l'ensemble des membres pour validation. Les questions traitées ont une portée générale et le comité n'a pas vocation à se pencher sur un dossier en particulier.

La composition, les missions et le règlement intérieur des comités d'interface sont publiés sur le site internet de l'Agence, ainsi que les ordres du jour et les comptes rendus des séances. Un bilan des travaux est présenté annuellement au Conseil d'administration de l'Agence.

## **Définition du périmètre des échanges et des thèmes abordés**

---

Bernard CELLI introduit les différents thèmes d'intérêt pour le comité d'interface afin de mieux appréhender les attentes spécifiques des opérateurs et des acteurs du domaine des médicaments de thérapie innovantes avant de leur donner la parole lors du tour de table. Les principaux thèmes sont :

- Les évolutions réglementaires, le cadre européen ;
- Les autorisations (essais cliniques/produits/établissement) ;
- Les bonnes pratiques.

## **Tour de table, recueil des attentes**

---

Chaque participant invité a pu s'exprimer au cours de ce tour de table. Les points abordés couvrent en particulier les thèmes qui suivent.

Il est remonté une forte attente de la part des participants vis-à-vis de l'organisation de ce comité d'interface MTI (CI MTI) afin de favoriser les échanges avec l'ANSM, comme ce fut le cas avec la commission thérapie cellulaire et génique de l'Afssaps entre 2007 et 2012.

Il est attendu que le CI MTI permette de mieux appréhender la réglementation européenne et échanger sur l'application (perçue comme hétérogène) des textes dans les pays de l'Union. Les participants ont exprimés leur intérêt pour que des points de situations sur la réglementation européenne et son adaptation en France par l'ANSM soient effectués régulièrement lors des prochains CI.

Il est attendu que le CI MTI pourrait être un lieu d'échanges sur des sujets d'intérêt communs comme l'homogénéisation des pratiques. Ce serait une opportunité pour les acteurs de recueillir l'interprétation de l'Agence sur les textes opposables, ce qui permettra d'avoir une même lecture des textes.

S'agissant du LEEM, il identifie trois sujets d'importance pour ses membres :

- la question de l'obtention des autorisations pour la fabrication et le développement des MTI ; les conditions d'importation de la matière première ;
- les problématiques liées au traitement des données et data générées en lien avec les MTI (fabrication et utilisation).

France Biotech a insisté sur la question des délais dans l'évaluation des autorisations des essais cliniques (notamment dans le contexte de la crise sanitaire).

Deux questions plus spécifiques ont été évoquées au cours du tour de table :

- l'obtention d'une autorisation fabricant MTI-PP est-elle prise en compte dans l'évaluation des demandes essais cliniques à l'échelle de l'Europe ?
- quel est l'environnement approprié, tel que décrit dans les BPF-MTI, lors de la fabrication des MTI dans un système clos ?

Ces deux questions seront mises à l'ordre du jour d'une prochaine séance du comité.


## **Modalités de représentation des parties prenantes**

---

Les prochaines séances du comité d'interface seront organisées avec les membres siégeant du comité. Plusieurs sièges sont proposés aux participants suivants :

- Représentants des industries pharmaceutiques MTI via le LEEM (2 sièges)
- CHU (2 sièges voir plus)
- EFS (1 siège)
- CTSA (1 siège)
- Association France Biotech (1 siège)

La possibilité de nommer autant de suppléants que le nombre de sièges est proposée.



Les représentants des établissements de santé sont invités à faire connaître leurs candidats pour les sièges proposés, le nombre pouvant s'adapter en fonction de leur choix d'être représentés dans le cadre d'une fédération hospitalière ou d'y participer en leur nom tant que membre.

## **Présentation du - Guichet Innovation - de l'ANSM**

---

Marc MARTIN présente les modalités de fonctionnement du Guichet Innovation mis en place à l'ANSM depuis le 9 septembre 2020.

Ces modalités sont reprises sur la page du site internet de l'ANSM : [https://www.ansm.sante.fr/L-ANSM/Guichet-Innovation-et-Orientation-GIO/Guichet-Innovation-et-Orientation/\(offset\)/0](https://www.ansm.sante.fr/L-ANSM/Guichet-Innovation-et-Orientation-GIO/Guichet-Innovation-et-Orientation/(offset)/0)

## **Dates des réunions en 2021**

---

Les dates proposées sont les suivantes. Les réunions se déroulent l'après-midi à partir de 14 heures.

Vendredi 22 janvier 2021

Vendredi 18 juin 2021

Vendredi 22 octobre 2021