

Médicaments de thérapie innovante

2005/0227(COD) - 28/03/2014 - Document de suivi

Dans le cadre du présent rapport, élaboré conformément au règlement (CE) n° 1394/2007 du Parlement européen et du Conseil concernant les médicaments de thérapie innovante (règlement MTI), la Commission fait le point sur la situation des MTI dans l'Union et analyse l'incidence du règlement sur les thérapies innovantes.

La pierre angulaire du règlement est l'obligation d'obtenir une autorisation préalable de mise sur le marché pour tout MTI. Cette autorisation ne peut être accordée que si une évaluation scientifique du profil de qualité, d'efficacité et de sécurité démontre que les avantages l'emportent sur les risques.

Selon la Commission, la contribution du règlement MTI à la santé publique pourrait être mesurée à l'aune de deux paramètres: 1) la disponibilité de nouveaux MTI sur le marché de l'Union et 2) le degré d'efficacité et de sécurité des MTI autorisés.

Disponibilité de nouveaux MTI : le rapport souligne que le règlement MTI joue un rôle important dans la protection des patients contre les traitements scientifiquement infondés. Il a aussi établi un **cadre commun pour l'évaluation des thérapies innovantes** dans l'Union. Toutefois, la mise au point de thérapies innovantes n'en est encore qu'à ses balbutiements et **seuls quatre MTI ont obtenu une autorisation de mise sur le marché**.

L'intensification marquée de l'activité du CTI en matière d'avis scientifiques et de classifications, de même que la multitude d'essais cliniques portant sur des MTI, témoignent du dynamisme de ce secteur de la recherche.

La Commission estime que **les thérapies innovantes peuvent apporter d'immenses bénéfices aux patients**. Toutefois, de nombreuses inconnues subsistent et il est donc important de **mettre en place des contrôles adéquats** afin d'éviter toute conséquence néfaste pour la santé publique.

Exigences relatives à l'autorisation de mise sur le marché de MTI : le règlement MTI protège les patients en exigeant que les MTI fassent l'objet d'un examen indépendant réalisé par les meilleurs experts de l'Union sur la base de normes élevées en matière de qualité, d'efficacité et de sécurité avant d'être mis à la disposition des patients.

Or, selon le rapport, **des exigences excessives pourraient avoir des conséquences néfastes** pour la santé publique, puisqu'elles risqueraient d'empêcher la mise au point de traitements efficaces qui répondraient à des besoins médicaux insatisfaits.

Une réglementation dans ce domaine devrait permettre de créer les conditions qui facilitent l'émergence de nouveaux médicaments tout en garantissant un haut niveau de protection de la santé publique. De même, il est important que le cadre réglementaire soit adapté à la rapidité des progrès scientifiques.

Conclusions et recommandations : l'expérience accumulée depuis l'entrée en vigueur du règlement MTI montre qu'il est possible d'aider la recherche à mettre au point des MTI accessibles aux patients dans l'ensemble de l'Union tout en maintenant un niveau élevé de protection de la santé publique, et notamment:

- de clarifier le **champ d'application** du règlement MTI en affinant les définitions actuelles des MTI et en réfléchissant au cadre réglementaire approprié qui permettrait de couvrir les nouveaux produits innovants échappant aux dispositions existantes,

- d'envisager des mesures visant à éviter les disparités dans la **classification** des MTI au sein de l'Union,
- de clarifier les conditions d'application de **l'exemption hospitalière** (laquelle permet d'administrer aux patients un MTI dans des conditions contrôlées lorsqu'il n'existe pas de médicament autorisé) et le rôle des données ainsi obtenues dans le cadre des procédures d'autorisation de mise sur le marché. Si l'exemption hospitalière devenait le mode habituel de commercialisation des thérapies innovantes, cela aurait des conséquences néfastes pour la santé publique ;
- de réviser les **conditions d'autorisation des MTI** en vue de garantir que les exigences applicables en la matière sont proportionnées et bien adaptées aux spécificités de ces médicaments, en prêtant une attention particulière aux produits autologues (dans le cas des produits autologues, les cellules /tissus sont prélevés sur un patient, puis traités ou multipliés, et enfin réintroduits dans le corps du même patient) ;
- de rationaliser le **processus d'autorisation de mise sur le marché** : la procédure qu'applique l'Agence pour évaluer les MTI (qui fait intervenir jusqu'à cinq comités) est jugée trop fastidieuse, notamment par les PME et les organisations sans but lucratif,
- d'élargir la catégorie de demandeurs pouvant solliciter une **certification** et de clarifier le lien entre la certification et la procédure d'autorisation de mise sur le marché,
- de créer un environnement plus favorable aux **concepteurs de MTI travaillant dans une université ou dans un organisme sans but lucratif**, y compris en les encourageant à prendre contact au plus tôt avec les autorités grâce à l'application de la réduction des redevances pour les avis scientifiques et en étendant le système de certification à ces concepteurs,
- d'envisager d'éventuelles réductions de **redevances** visant à atténuer l'impact financier des obligations postérieures à la mise sur le marché.