



ERY *tech Pharma*[®]



The Therapeutic Red Cell Company

*Rencontre avec l'Afssaps
16 Novembre 2009*

Témoignage

- Innovation dans les PME :
 - Des compétences scientifiques
 - Réglementation en évolution ou absence de réglementation
 - PME : ressource humaine limitée en nombre
 - Difficile de définir seul le/les contacts spécialisés dans le/les domaines concernés au sein des autorités
 - Problématique de temps

Présentation

ERYtech

- Fondée en 2004
- Siège social : Lyon (Bioparc)
- 38 personnes
- Spécialisée dans le développement de médicaments de thérapie cellulaire utilisant le **globule rouge comme vecteur, protecteur ou micro bioréacteur de substances actives**
- Domaines thérapeutiques :
 - **Oncologie**
 - Troubles métabolisme, Hématologie



Médicament concerné

Présentation
Médicament
concerné

Suspension d'érythrocytes encapsulant de
l'asparaginase

Fabriqué selon un procédé industriel spécifique
nécessitant un équipement particulier

Traitement de la leucémie aigue
lymphoblastique

Etude clinique en cours depuis 2005 au plan
national selon la réglementation en vigueur
sur les **préparations** de thérapie cellulaire

Problématique générale

Présentation

Besoin Erytech

**Le 28 juin 2006, qualification en tant que médicament de
thérapie cellulaire (décision EMEA/223942/2006)**



**Fin 2007,
Besoin:**

**Etre en position d'obtenir des autorisations d'études cliniques
« médicament de thérapie cellulaire » au plan national et
européen pour les nouveaux projets de recherche
biomédicale débutant dans l'année à venir**



**Or nouveau statut : médicament, implique cadre différent de
celui initialement utilisé lors des premiers essais :
Préparation**

Cas particulier d'Erytech

Cas particulier

Problématique :

**DIRECTIVE 2001/83 CE modifiée et RÈGLEMENT (CE)
No 1394/2007 Thérapie innovante**

*La fabrication des lots pour étude clinique de
médicament de thérapie cellulaire doit être
conforme aux BPF*



**Soit fabrication au sein d'un
Établissement Pharmaceutique**

Présentation

Problématique
exemple

Procédé particulier , non standard , ligne directrice BPF
thérapie cellulaire non établie ,

- Type de structure à mettre en place pour obtenir l'autorisation d'ouverture ?
- Comment concilier obtention des autorisations et d'études clinique et d'autorisation d'ouverture au plus vite?
- Délais standard : 180 j pour une autorisation d'ouverture
90 j pour une autorisation d'études clinique et
Soit en théorie $180 + 90 = 270$ jours pour des dossiers recevables
- Qui contacter ? Comment obtenir un consensus? Points de vue différents?

Présentation

Problématique
solution

Contact avec différents départements de l'Afssaps initiés depuis fin 2007 : difficile de coordonner l'ensemble de l'extérieur avec les ressources existantes

Contact : référent innovation : Septembre 2008

Délivrables:

- Identification des personnes clefs
- Explication de la problématique
- **Eclairages** sur, le type de structure à mettre en place, le type de documents à transmettre et un planning de transmission des documents
- Evaluation par les autorités **au plus vite et en parallèle** des dossiers de demande d'autorisation d'ouverture et de demande d'étude clinique

Présentation

Problématique
solution

Résultats

- 9 mars 2009 : Obtention autorisation d'ouverture d'établissement pharmaceutique
- 24 mars 2009: Obtention Autorisation d'étude clinique:
- Autorisation d'étude clinique ultérieure :
dépôt le 16 mars 2009 , obtention le 24 juin 2009
- **Aujourd'hui : Possibilité de dépôt des dossiers de demande d'étude clinique au niveau européen**

Point de vue industriel

Présentation

Point de vue
industriel

- Bilan positif en termes de réalisation mais aussi humain :
 - Gros travail préparatoire d'ERYtech Pharma mais écoute bilatérale constructive et prise en compte par l'Afssaps de la problématique
 - Obligation pour d'ERYtech Pharma de tenir les engagements mais
 - au final poursuite du développement et développement facilité au niveau européen, limitation de l'impact de la conséquence «établissement pharmaceutique »
- Continuer et développer cette direction.....