

Rencontre avec les PME innovant dans le domaine de la santé

Quel accompagnement dans le domaine du médicament

*Agence française
de sécurité sanitaire
des produits de santé*



Dr Mira Pavlovic
Avis scientifiques, DEMEB

Quel accompagnement dans le domaine du médicament



Ce qui existe déjà:

- **Avis scientifiques et « protocol assistance »**
 - à l'AFSSAPS
 - à l'EMA
- **Guidelines sur le développement des médicaments (qualité, préclinique, clinique) dans tous les domaines de médecine**
- **Recommandations de BPC**

But: aider le développement de nouveaux médicaments en prenant en compte:

- maladie,
- population cible,
- traitements existants
- spécificités du produit en développement
- exigences réglementaires
- guidelines existants

Domaine d'application:

- qualité, sécurité, efficacité
(<http://afssaps.sante.fr/htm/3/avscient.htm>)
- démonstration de bénéfice significatif (médicaments orphelins)

- **Facultatifs**
- **Gratuits**
- **Non contraignants**
- **Questions:**
 1. Qualité (i.e. développement de produits issus de biotechnologie)
 2. Développement préclinique: adapté à la situation clinique
 3. Développement clinique
 - design des études
 - critères d'efficacité,
 - durée de l'essai,
 - population cible,
 - comparateur(s),
 - sécurité

Avis scientifiques à l'AFSSAPS (3)

Contenu



- **Tous les domaines de médecine**
- **Contenu:**
 - Pré-soumission (AMM)
 - Design des études pivot
 - Acceptabilité du développement clinique

Mais aussi

- Passage à l'homme
- Développement préclinique (produits biologiques)
- Problèmes conceptuels
- Qualité (produits biologiques)

Avis scientifiques à l'AFSSAPS (4)

Intérêt



Pour l'industriel / chercheur:

obtenir un conseil scientifique et méthodologique
aide dans les décisions stratégiques,
identifier les questions clé pour un avis EMEA
« régler le problème » nationalement

Pour l'AFSSAPS:

intervenir précocement dans le développement d'un médicament
assurer la validité scientifique et réglementaire d'un dossier

Avis scientifiques à l'AFSSAPS (5)

Rôle des experts



Experts externes:

- Avec parcimonie et transparence (conflits d'intérêt)
- Expérience (pré) clinique
- Questions clé:
 - Modèle préclinique: est-il adapté
 - Population: est-elle réelle
 - Critère d'efficacité / bénéfice observé: est-il pertinent
 - Comparateurs: sont-ils acceptables?

Experts externes et internes:

Proposer des essais réalisables

Anticiper les opinions divergentes en FR et en EU

Conseiller (ou non) un avis scientifique EMEA

AIDE

- aux (petites) entreprises (innovantes)
- à l'innovation thérapeutique
- aux projets précoces

QUI

- Groupe multidisciplinaire transversal de l'AFSSAPS

ROLE

- Faciliter l'échange informel d'information tôt dans le développement d'un médicament
- Faciliter la liaison avec les interlocuteurs adaptés
- Accompagner certains projets pas à pas

- **Contact avec l'AFSSAPS tôt dans le développement:**
 - Ouvert à tous
- **Interlocuteurs adaptés:**
 - SME office (EMA)
 - Avis scientifiques (AFSSAPS, EMA)
 - Demande de désignation « médicament orphelin » (EMA)
 - Dispositifs médicaux (AFSSAPS)
 - Thérapie génique et cellulaire (AFSSAPS)
 - Essais cliniques (AFSSAPS)

- **Interlocuteurs adaptés (...)**
 - Règlement pédiatrique (EMA, AFSSAPS)
 - Affaires réglementaires (AFSSAPS)
 - Désignation des produits de santé (AFSSAPS, EMA)

- **S'il n'y a pas d'interlocuteur « adapté »:**
 - Groupe multidisciplinaire transversal de l'AFSSAPS
 - Réunions avec les experts internes et externes (?)
 - Accompagnement pas à pas

Les questions auxquelles on ne répondra pas (voir 1°, 2°):

- Procédures pour obtenir une AMM (FR ou EU)
- Contenu d'un dossier d'AMM (études pharmaceutiques, précliniques, cliniques)
- Programme de développement en général

1° User Guide for Micro, Small and Medium-sized Enterprises on the administrative and procedural aspects of the provisions, laid down in Regulation (EC) N°726/2004, that are of particular relevance to SMEs. (EMA/206798/2007)

2° relevant EMA guidelines

Bonnes questions (projets précoces):

- Mode d'action est-il suffisamment bien connu?
- La nature de cible est-elle bien identifiée?
- Modèle animal choisi est-il adapté à la spécificité de la molécule en développement (PD, PK, toxicité aigue et chronique)
- Proof of concept: quels critères choisir?
- La durée des études précliniques est elle adaptée à l'utilisation clinique prévue?
- Peut-on passer à l'homme?
- Phase I: chez les volontaires ou les patients?
- Statut réglementaire du produit (médicament, DM, produit combiné, cosmétique), développement adapté

- **Bonnes questions:**
 - les plus difficiles à répondre (limitation d'AFSSAPS dans les projets très précoces)
- **Compétences nationales (AFSSAPS)**
- **Collaboration européenne ?**
 - SME office
 - EU réseau « innovation task force »,
 - EMEA « innovation think tank »