

Direction des thérapies innovantes, des produits issus du corps humain et des vaccins
Equipe produits thérapies innovantes et produits du corps humain

Compte-rendu de la Commission de Thérapie Génique et Cellulaire

Réunion du 13 novembre 2012

Sommaire :

Feuille d'émargement	2
Quorum	3
Gestion des conflits d'intérêts.....	3
I) Approbation du compte rendu de la commission précédente.....	3
II) Dossiers.....	3
III) Questions diverses ou points d'actualité.....	6

Feuille d'émargement

Etaient présents :

Présidence

M. Jean-Roch FABREGUETTES

Membres

Personnalités scientifiques

Titulaires :

Mme Anne FIALAIRE LEGENDRE (EFS)

Suppléants :

Mme Marie-Jeanne RICHARD

Mme Odile DAMOUR

M. Sylvain OLIVERO

M. Marcel JOUSSEMET (vice-président)

Représentants les associations d'usagers du système de santé

Membres de droit

Mme Catherine FAUCHER (ABM)

Mme Marie-Thérèse DUFFOUR (ANSM)

Evaluateurs internes et secrétariat

Mme Sandrine DENIS

Mme Stéphanie JAMBON

Etaient absents :

M. Bernard DAZEY

Mme Christine DOSQUET

Mme Brigitte DRENO

M. Dominique HEYMANN

M. Jérôme LARGHERO

M. Jean-Pierre MAROLLEAU

M. Jean-Louis PRUGNAUD (Président)

Mme Florence SABATIER

M Bruno VARET

M. Jean-Jacques LATAILLADE (Défense)

M. Jean-François MALATERRE (AFM)

M. Didier SAMUEL (président CNBV)

Mme Michèle PERRIN (DGOS)

Mme Françoise NOROL

M. Stéphane MADDENS

M. Boris CALMELS

M. Noel MILPIED

M. Christophe MARTINAUD (Défense)

M. Philippe FOURCHTEIN (ABM)

Mme Marianne RIVIERE (association Lupus)

Quorum

Après vérification du quorum, le Président ouvre la séance.

Gestion des conflits d'intérêts

Les conflits d'intérêts sont évalués lors de chaque dossier présenté.

I) Approbation du compte rendu de la commission précédente

Concernant le référentiel d'évaluation des préparations de CSH placentaire allogéniques non apparentées décongelées défini lors de la réunion du 09 octobre 2012 (cf. compte rendu de la séance n°46, partie II) Dossiers, 1. Question générale), il est fait mention d'une vérification systématique de la compatibilité HLA (donneur/receveur). Il faut préciser que ce contrôle correspond à une vérification documentaire (traçabilité) et non à la réalisation d'une nouvelle analyse.

Pour rappel, la vérification du typage HLA et du groupe sanguin constituent des points critiques, conduisant à une question suspensive s'ils ne sont pas mentionnés dans le dossier.

Le compte-rendu de la Commission n°46 en date du 09 octobre 2012 est approuvé dans son ensemble, après précision du point ci-dessus, à l'unanimité des membres présents.

II) Dossiers

Examen des dossiers

Dossier PPC207

Nouvelle demande

Demandeur : CHU d'Amiens

Produit : Cellules mononucléées issues du sang périphérique allogéniques

Aucune situation de conflit d'intérêt important susceptible de faire obstacle à la participation des membres de la Commission aux débats et à la délibération n'a été identifiée, ni déclarée sur ce dossier.

Points délibératifs

La documentation fournie permet de s'assurer de la maîtrise du procédé de préparation des cellules mononucléées issues du sang périphérique allogéniques. En effet, le dossier est bien documenté et des données de validation sont présentées. Néanmoins, la possibilité de recongeler un produit décongelé ne peut être envisagée.

La Commission émet un avis favorable sur le dossier PPC207 avec exclusion de cette pratique de re-congélation, à l'unanimité des membres présents.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°33 du 07 avril 2011 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC208

Nouvelle demande

Demandeur : CHRU de Montpellier

Produit : Cellules souches hématopoïétiques de sang placentaire allogéniques non apparentées ayant subi une cryoconservation

Aucune situation de conflit d'intérêt important susceptible de faire obstacle à la participation des membres de la Commission aux débats et à la délibération n'a été identifiée, ni déclarée sur ce dossier.

Points délibératifs

La documentation fournie permet de s'assurer de la maîtrise du procédé de préparation des CSH de sang placentaire allogéniques non apparentées. En effet, le dossier est bien documenté et des données de validation sont présentées.

De plus, le « mini-dossier » de la banque de sang placentaire de Montpellier est validé par la Commission et pourra donc être envoyé aux unités de thérapie cellulaire qui réalisent la décongélation d'unités de sang placentaire préparées par cette banque.

La Commission émet un avis favorable sur le dossier PPC208 à l'unanimité des membres présents.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°30 du 07 décembre 2010 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Pour prendre connaissance du contenu du « mini-dossier », se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°31 du 8 février 2011 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC205

Nouvelle demande

Produit : Cellules souches hématopoïétiques issues de la moelle osseuse allogéniques

Un membre présente un conflit d'intérêts important sur le dossier PPC205 au motif qu'il a un lien avec le demandeur. Il s'est déconnecté de la conférence téléphonique, lors du traitement de ce dossier ; et n'a donc participé ni au débat, ni au vote.

Points délibératifs

La documentation fournie ne permet pas de s'assurer de la maîtrise du procédé de préparation des CSH issues de la moelle osseuse allogénique. En effet, la procédure de réduction de volume sur Sepax 2, systématiquement réalisée pour les produits frais, en absence d'incompatibilité ABO et en absence d'anticorps communs chez le donneur, n'est pas justifiée chez l'adulte.

La Commission émet un avis défavorable sur le dossier PPC205 à l'unanimité des membres présents.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°24 du 27 avril 2010 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC163

Réponse projet de rejet

Demandeur : Hôpital Pitié Salpêtrière

Produit : Cellules nucléées autologues issues d'aphérèse irradiées par UVA en présence de 8-méthoxypsoralène

Aucune situation de conflit d'intérêt important susceptible de faire obstacle à la participation des membres de la Commission aux débats et à la délibération n'a été identifiée, ni déclarée sur ce dossier.

Points délibératifs

Les réponses apportées aux questions suspensives sont satisfaisantes et permettent de s'assurer de la maîtrise du procédé. En effet, une poche adaptée au transport et à l'administration du PTC est maintenant utilisée pour le conditionnement du produit irradié prêt à l'administration, réduit ou non.

La Commission émet un avis favorable sur dossier PPC163 à l'unanimité des membres présents.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°33 du 07 avril 2011 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC99

Réponses à la question non suspensive concernant la mesure des CFU-GM

Demandeur : EFS Aquitaine Limousin - site de Bordeaux

Produit : Cellules souches hématopoïétiques issues de la moelle osseuse allogéniques

Madame Fialaire-Legendre (Réfèrent Tissus/Cellules à la Direction Médicale de l'EFS Siège et personne responsable intérimaire Tissus/Cellules) et Madame Richard (Responsable de l'Unité Mixte de Thérapie Cellulaire et Tissulaire de l'EFS Rhône Alpes - site de Saint Ismier) présentent un conflit d'intérêts important sur le dossier PPC99 au motif que ces personnes travaillent à l'EFS. Elles se sont déconnectées de la conférence téléphonique, lors du traitement de ce dossier ; et n'ont donc participé ni au débat, ni au vote.

Points délibératifs

Les réponses apportées à la question non suspensive concernant la mesure des CFU-GM, adressées au demandeur avec la décision d'autorisation de la préparation de thérapie cellulaire, sont satisfaisantes.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°24 du 27 avril 2010 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC177

Réponses à la question non suspensive concernant la mesure des CFU-GM

Demandeur : EFS Aquitaine Limousin - site de Bordeaux

Produit : Cellules souches hématopoïétiques issues de la moelle osseuse autologues

Madame Fialaire-Legendre (Réfèrent Tissus/Cellules à la Direction Médicale de l'EFS Siège et personne responsable intérimaire Tissus/Cellules) et Madame Richard (Responsable de l'Unité Mixte de Thérapie Cellulaire et Tissulaire de l'EFS Rhône Alpes - site de Saint Ismier) présentent un conflit d'intérêts important sur le dossier PPC177 au motif que ces personnes travaillent à l'EFS. Elles se sont déconnectées de la conférence téléphonique, lors du traitement de ce dossier ; et n'ont donc participé ni au débat, ni au vote.

Points délibératifs

Les réponses apportées à la question non suspensive concernant la mesure des CFU-GM, adressées au demandeur avec la décision d'autorisation de la préparation de thérapie cellulaire, sont satisfaisantes.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°35 du 31 mai 2011 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

Dossier PPC183

Réponses aux questions non suspensives

Demandeur : EFS Rhône Alpes – site de Lyon

Produit : Cellules souches hématopoïétiques de sang placentaire allogéniques non apparentées ayant subi une cryoconservation

Madame Fialaire-Legendre (Réfèrent Tissus/Cellules à la Direction Médicale de l'EFS Siège et personne responsable intérimaire Tissus/Cellules) et Madame Richard (Responsable de l'Unité Mixte de Thérapie Cellulaire et Tissulaire de l'EFS Rhône Alpes - site de Saint Ismier) présentent un conflit d'intérêts important sur le dossier PPC183 au motif que ces personnes travaillent à l'EFS. Elles se sont déconnectées de la conférence téléphonique, lors du traitement de ce dossier ; et n'ont donc participé ni au débat, ni au vote.

Points délibératifs

Les réponses apportées aux questions non suspensives, adressées au demandeur avec la décision d'autorisation de la préparation de thérapie cellulaire, ne sont pas toutes satisfaisantes, certaines restent en vigueur et devront être complétées rapidement. En effet, les données de stabilité sur des unités de sang placentaire décongelées devront être fournies dès que les résultats seront disponibles.

La Commission maintient certaines questions non suspensives concernant le dossier PPC183 à l'unanimité des membres présents.

Points d'information

Pour prendre connaissance des méthodes et référentiels d'évaluation de ce dossier, se référer aux recommandations émises par la Commission publiées dans le compte rendu de la séance n°30 du 07 décembre 2010 (disponible sur le site internet de l'ANSM).

III) Questions diverses ou points d'actualité

Rappel concernant la transmission des « mini-dossiers » pour les dossiers de CSH de sang placentaire allogéniques non apparentées

Lors de la réunion du 22 novembre 2011 et 17 janvier 2012, les modalités d'envoi des « mini-dossiers », des banques de sang placentaire ayant reçu leur autorisation de préparation de CSH de sang placentaire allogéniques non apparentées, aux unités de thérapie cellulaire (UTC) décongelant ces unités de sang placentaire (USP) avaient été discutées.

Pour rappel, cette diffusion des « mini-dossiers » à l'ensemble des UTC françaises susceptibles de décongeler des CSH de sang placentaire allogéniques non apparentées peut être réalisée par le Registre France Greffe de Moelle, de la Direction CSH de l'ABM, après transmission de ces « mini-dossiers » à l'ABM par les banques de sang placentaire ayant reçu leur autorisation de préparation de CSH de sang placentaire allogéniques non apparentées, et dont le « mini-dossier a été validé par la Commission. Les « mini-dossiers », accompagnés d'un courrier type faisant référence au courrier de l'Afssaps du 08 juin 2011, doivent ensuite être envoyés par l'ABM aux UTC, au fur et à mesure de leur validation par la Commission.

Or, à ce jour, aucun « mini-dossier » n'a encore été reçu par l'ABM.

Un rappel est donc fait aux banques de sang placentaire ayant reçu leur autorisation de préparation de thérapie cellulaire pour les cellules souches hématopoïétiques de sang placentaire allogéniques non apparentées ayant subi une cryoconservation avec la validation par la Commission de leur « mini-dossier », concernant l'envoi de leurs « mini-dossiers » à l'ABM pour diffusion à l'ensemble des UTC susceptibles de décongeler des USP. A défaut, ces banques devront envoyer directement leur « mini-dossier » à l'ensemble des UTC.