

Les défis du contrôle qualité des produits de thérapie génique en Europe

Trouvons ensemble les solutions !



www.edqm.eu

Les défis du contrôle qualité des produits de thérapie génique en Europe

Trouvons ensemble les solutions !

Pourquoi l'EDQM/Conseil de l'Europe s'intéresse-t-elle aux produits de thérapie génique ?

■ L'EDQM est la direction du Conseil de l'Europe qui soutient l'exercice du droit fondamental de tout être humain de bénéficier de médicaments et de soins de santé de qualité en Europe. L'EDQM établit des normes officielles de contrôle qualité des médicaments dans la Pharmacopée Européenne (Ph. Eur.). Les produits de thérapie génique font l'objet des chapitres généraux de la Ph. Eur. 5.14. « *Médicaments de transfert génétique pour usage humain* » et 5.2.12. « *Matières premières d'origine biologique utilisées pour la production des médicaments à base de cellules et des médicaments de thérapie génique* ». L'EDQM travaille à la standardisation des méthodes d'analyse pour le contrôle qualité des produits de thérapie génique, et s'attachera également dans le futur, à l'établissement des étalons de référence requis pour les essais.

■ L'EDQM assure, par ailleurs, le secrétariat technique pour le réseau européen des laboratoires officiels de contrôle des médicaments (OMCL), qui sont chargés du contrôle de qualité des médicaments dans toute l'Europe.

Pourquoi et de quelle manière les OMCL travaillent-ils sur les produits de thérapie génique ?

■ Les OMCL, un réseau de plus de 70 laboratoires publics, sans lien avec l'industrie, aident les autorités réglementaires européennes à assurer la qualité des médicaments, dont les produits de thérapie génique. Le rôle des OMCL est de contrôler les médicaments mis sur le marché conformément aux exigences légales en vigueur, et d'épauler les autorités d'enregistrement européennes, par exemple lors de la revue de données avant des essais cliniques et lors de l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Les OMCL travaillent en toute transparence et respectent toujours la confidentialité des informations communiquées par les fabricants et producteurs de médicaments.

■ Il est primordial pour les fabricants et producteurs, en particulier pour les médicaments de thérapie génique, d'impliquer les autorités réglementaires européennes et les OMCL nationaux très tôt dans le processus afin que toutes les questions réglementaires soient prises en compte dès les tous premiers stades de développement de leurs produits.

■ Pour en savoir plus sur les activités du réseau européen des OMCL (GEON) coordonné par l'EDQM, son Groupe de Travail sur la thérapie génique (GT) et la liste des OMCL qui y participent, consultez le site web de l'EDQM : [go.edqm.eu/PTG](https://www.edqm.eu/PTG).

Comment l'EDQM et les OMCL se préparent-ils pour la surveillance du marché des produits de thérapie génique ?

■ Les produits de thérapie génique sont des médicaments complexes et innovants pour des maladies génétiques graves qui souvent menacent la vie des patients. Ils s'accompagnent toutefois de risques nouveaux et particuliers qui représentent un défi pour les OMCL chargés de surveiller le marché.

■ Pour se préparer à cette tâche, le réseau des OMCL a fondé en 2008 un Groupe de Travail sur la thérapie génique. Son but est d'encourager la collaboration entre les OMCL travaillant dans ce domaine et l'organisation du travail en Centres d'Excellence afin de gagner du temps et d'économiser des ressources par le partage des connaissances et la mutualisation des technologies pour une plus grande efficacité.

■ Ce Groupe de Travail se réunit une fois par an pour parler des activités menées dans le domaine et pour réviser son programme de travail en fonction des dernières avancées. Ce dernier est axé sur les principaux vecteurs utilisés pour les produits de thérapie génique disponibles sur le marché, ainsi que sur ceux qui sont utilisés dans le cadre d'essais cliniques de stade avancé, notamment les vecteurs basés sur des virus adéno-associés (AAV), les vecteurs rétroviraux/lentiviraux (RV/LV), les plasmides, etc. Pour chaque type de vecteur, le groupe de travail s'attache au développement et à la validation de méthodes d'analyse pertinentes, comme recommandé dans le chapitre général 5.14 de la Ph. Eur.

Quelle est la contribution de la Pharmacopée Européenne dans le domaine des produits de thérapie génique ?

■ Le Groupe de Travail GTP (Produits de thérapie génique) a également été réactivé par la Commission européenne de Pharmacopée (« la Commission »). Il est chargé de réviser le chapitre général 5.14. « *Médicaments de transfert génétique pour usage humain* » afin de tenir compte des nouveaux textes de la pharmacopée, notamment le chapitre général 5.2.12. « *Matières premières d'origine biologique utilisées pour la production des médicaments à base de cellules et des médicaments de thérapie génique* ».

■ Il s'agit d'un domaine en constante évolution et le Groupe de Travail GTP déterminera également s'il est nécessaire de réviser d'autres chapitres généraux ou d'élaborer de nouveaux textes relatifs à la thérapie génique, afin de tenir compte des dernières avancées. Il participera également à la révision des textes transversaux élaborés par d'autres groupes d'experts et groupes de travail de la Ph. Eur., notamment le chapitre général 2.6.35. « *Quantification et caractérisation de l'ADN résiduel de la cellule hôte* ».

■ Conformément à la politique actuelle de la Commission, des experts du monde entier sont invités à prendre part à ces travaux. En savoir plus sur la procédure à suivre pour devenir un expert de la Ph. Eur. : <https://www.edqm.eu/fr/rejoignez-le-reseau>

Soutenir les travaux de la Pharmacopée Européenne et des OMCL sur les produits de thérapie génique

■ La coopération avec les fabricants et les autres parties intéressées est important pour établir des méthodes de contrôle qualité à la pointe de la technologie et des normes visant à assurer que les produits de thérapie génique soient efficaces et sûrs pour les patients.

■ L'EDQM, la Ph. Eur. et les OMCL sont toujours prêts à échanger avec les acteurs du domaine des produits de thérapie génique et comptent sur leur soutien (notamment la fourniture des produits d'étude), ainsi que leur participation aux activités visant à définir les méthodes d'analyse les plus adaptées et à établir des étalons de référence pertinents.



www.edqm.eu



Suivez @edqm_news sur Twitter

