



08 octobre 2018, Strasbourg, France

Qualité des produits de thérapie génique : l'EDQM à l'écoute des besoins de ses partenaires

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. Par le biais de la Pharmacopée Européenne (Ph. Eur.), l'EDQM fixe des exigences de qualité pour les médicaments, notamment dans le domaine des produits de thérapie génique (PTG). Ses activités dans ce domaine ont débuté en 2000 avec la création du groupe de travail GTP de la Ph. Eur., dont les travaux ont abouti en 2006 à la publication du chapitre général 5.14 « *Médicaments de transfert génétique pour usage humain* ». La Commission européenne de Pharmacopée a décidé, en mars 2018, de réactiver ce Groupe de Travail, qu'elle a chargé de réviser le chapitre général 5.14 afin de tenir compte des textes de pharmacopée nouvellement élaborés, comme 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* » et de déterminer s'il est nécessaire de réviser d'autres chapitres généraux ou d'élaborer de nouveaux textes de la Ph. Eur. sur la thérapie génique, afin d'inclure les dernières avancées dans ce domaine en constante évolution.

L'EDQM assure en outre le secrétariat technique pour le réseau européen des laboratoires officiels de contrôle des médicaments (OMCL), responsables de la surveillance de la qualité des médicaments dans toute l'Europe. Composé de plus de 70 laboratoires publics, ce réseau aide les autorités réglementaires européennes à contrôler la qualité des médicaments, dont les PTG. Pour se préparer aux développements dans ce domaine, le réseau a créé, en 2008, le groupe de travail GT, consacré à la thérapie génique. Le programme de travail de ce groupe est axé sur le développement et la validation de méthodes d'analyse pertinentes, comme recommandé dans le chapitre général 5.14 de la Pharmacopée Européenne, en mettant l'accent sur les vecteurs utilisés pour les PTG déjà disponibles sur le marché, ainsi que sur ceux utilisés dans le cadre d'essais cliniques de stade avancé (par exemple, les vecteurs adéno-associés, les vecteurs rétroviraux/lentiviraux recombinants et les plasmides).

Les groupes de travail GTP de la Ph. Eur. et GT des OMCL ont tenu une réunion conjointe en septembre 2018. Profitant de cette occasion, et pour recueillir les observations des parties concernées, l'EDQM a organisé à Rome le 27 septembre 2018, au sein de l'OMCL italien (*Istituto Superiore di Sanità*), une conférence qui a rassemblé 52 participants issus de nombreuses autorités réglementaires, de l'industrie, des milieux universitaires et d'associations. En ouverture de la conférence, le responsable du Centre national italien de contrôle et d'évaluation des médicaments, Dr Carlo Pini, et le, chef du Service de la Standardisation biologique, du Réseau OMCL et des Soins de Santé (DBO) à l'EDQM, Dr Karl-Heinz Buchheit, ont tous deux souligné l'importance d'harmoniser les exigences de qualité dans le domaine en rapide évolution de la thérapie génique. Des agents de l'EDQM ont ensuite brièvement présenté les activités en cours de l'EDQM et de ses groupes de travail dans le domaine des PTG, puis les discussions ont couvert les aspects réglementaires, tant en Europe qu'aux États-Unis d'Amérique. Les représentants de l'industrie et des associations présents à la réunion ont également eu l'occasion de faire part de leurs souhaits et de leur vision quant au rôle que l'EDQM devrait jouer dans les années à venir dans le domaine des PTG.

Ces présentations et les discussions qui ont suivi ont débouché sur plusieurs conclusions et recommandations (plus de détails [ici](#)). Il est certes très difficile de définir des exigences de qualité pour des produits complexes et innovants, parfois spécifiques à chaque patient, disponibles en quantités infimes et administrés à des patients atteints d'affections potentiellement mortelles et nécessitant un traitement urgent. Mais, comme l'a souligné l'un des participants, « tant que la science suit, c'est acceptable ». De l'avis général, malgré la diversité des produits concernés, l'EDQM pourrait et devrait contribuer à la convergence de certaines des méthodes d'essai utilisées et à la mise à disposition de substances de référence.



Le lendemain, les deux groupes de travail (groupe GTP de la Ph. Eur. et groupe GT des OMCL) ont poursuivi séparément leurs discussions pour assurer un suivi approprié de leurs activités respectives. Les groupes ont clôturé leurs réunions avec des plans d'action spécifiques pour les activités futures dans le domaine.

Contact : Caroline Larsen Le Tarnec, Division Relations Publiques, EDQM, Conseil de l'Europe - Tél. : +33 (0) 3 88 41 28 15 - E-mail : caroline.letarnec@edqm.eu

Note à l'intention des rédacteurs. Des informations complémentaires sont disponibles sur le site internet : <https://www.edqm.eu/>

L'EDQM est une organisation qui joue un rôle moteur en matière de protection de la santé publique, grâce aux normes qu'elle contribue à élaborer et mettre en œuvre et dont elle surveille l'application, afin d'assurer la qualité, la sécurité et le bon usage des médicaments. Les normes qu'elle élabore sont des références scientifiques reconnues dans le monde entier. La Pharmacopée Européenne est juridiquement contraignante dans les États qui en sont membres¹. L'EDQM développe également des lignes directrices et des normes dans les domaines de la transfusion sanguine, de la transplantation d'organes et de la protection de la santé des consommateurs.

¹La Commission européenne de [Pharmacopée](#) compte 39 membres (*Allemagne, Autriche, Belgique, Bosnie-Herzégovine, Bulgarie, Chypre, Croatie, Danemark, Espagne, Estonie, Finlande, France, Grèce, Hongrie, Islande, Irlande, Italie, Lettonie, « l'ex-République yougoslave de Macédoine », Lituanie, Luxembourg, Malte, République de Moldova, Monténégro, Norvège, Pays-Bas, Pologne, Portugal, Roumanie, Royaume-Uni, Serbie, République slovaque, Slovénie, Suède, Suisse, République tchèque, Turquie, Ukraine, Union européenne*).

Organisation politique créée en 1949, le Conseil de l'Europe œuvre à promouvoir la démocratie et les droits de l'homme à l'échelle du continent, ainsi qu'à développer des réponses communes aux enjeux sociaux, culturels et juridiques auxquels sont confrontés ses 47 états membres.