



# Quels principes juridiques pour encadrer les produits de thérapie innovante?

Aurélie Mahalatchimy, Doctorante en droit,  
UMR 1027 Inserm/Université Toulouse 3 Paul Sabatier  
IRDEIC Université Toulouse 1 Capitole

# De quoi parle-t-on?

- Thérapies innovantes (TI)
  - Thérapie génique
  - Thérapie cellulaire humaine et xénogénique
  - Ingénierie tissulaire
  - Dispositifs médicaux associés



Utilisation d'éléments du corps humain (gènes, cellules et tissus) à des fins thérapeutiques

Produits de santé



Cadre juridique spécifique et strict

# Que couvre le droit?

- Le droit est présent tout au long du cycle de vie du produit
  - Tissus et cellules utilisés à des fins thérapeutiques: don, obtention, contrôle, transformation, conservation, stockage, distribution
  - Fabrication: Bonnes pratiques
  - Essais cliniques
  - Mise sur le marché, commercialisation et suivi
  - Brevetabilité

# Quels droits?

- Droit de l'Union Européenne
  - Primauté et harmonisation
    - Médicaments fabriqués industriellement et commercialisés sur le marché des Etats membres
- Droit français
  - Particularités nationales
    - Produits de santé (Médicaments ou non) fabriqués artisanalement
- Droit dur (lois...) et droit mou (lignes directrices...)

# Pourquoi un encadrement spécifique et strict? (1)

- Grandes promesses thérapeutiques
  - Traiter les causes plutôt que les symptômes
  - Idée de régénération: médecine régénérativeMesures d'incitations au développement
- Risques mal connus
  - Capacité et/ou fonction de rester dans le corps humain,
  - « matériel » vivant qui se développe et qui interagit,...Mesures de sécurité sanitaire

## Pourquoi un encadrement spécifique et strict? (2)

- Caractère « humain » des produits de santé: enjeux éthiques et juridiques
- Caractère innovant et complexité des procédés de fabrication: Compétences scientifiques et réglementaires rares pour l'évaluation de ces produits  
Création de comités d'évaluation spécifiques

# ENJEU JURIDIQUE ET ETHIQUE PRINCIPAL

Transformation de l'élément humain en produit de santé

- Eléments du corps humain: régime juridique de protection des personnes
  - +++ Embryon : « personne humaine potentielle »
- Produits de santé: régime juridique des biens

# LES PRINCIPES JURIDIQUES MOBILISES

## Eléments du corps humain

- Protection des personnes
  - Accès:
    - Conditions du don: consentement, anonymat, gratuité
    - Information
  - Utilisation:
    - Confidentialité
    - Non-commercialisation
  - Non Brevetabilité en tant que tels

## Médicaments

- Règles du marché
  - Libre circulation dans l'UE
  - Fixation d'un prix
  - Appropriation
  - Cession
  - Commercialisation
  - Brevetabilité



# Protection des éléments du corps humain (1)

- Principe d'inviolabilité du corps humain: consentement:
  - À une intervention sur le corps
  - À la participation aux recherches biomédicales
  - Au don pour utilisation à des fins thérapeutiques
- Principe de non patrimonialité du corps, de ses éléments et produits
  - Gratuité du don mais remboursement possible des frais engagés par le donneur
  - Anonymat du don mais atténuations

# Protection des éléments du corps humain (2)

- Interdiction de la publicité en faveur du don
  - Mais possibilité d'information du public en faveur du don
- Règles de sécurité sanitaire
  - Exemple: sélection clinique des donneurs
- Biovigilance
  - Surveillance des incidents, risques d'incidents et effets indésirables

# Encadrement des produits de TI(1)

## **Médicaments (industrialisés): droit de l'UE**

- Mesures d'incitation au développement des médicaments de thérapie innovante
  - Harmonisation au niveau de l'UE: un règlement spécifique couvrant aussi l'ingénierie tissulaire
  - AMM centralisée et unique auprès de l'EMA: accès au marché de l'ensemble des Etats Membres
  - Réduction des redevances dues à l'EMA

# Encadrement des produits de TI(2)

- Mesures de sécurité sanitaire
  - Essais Cliniques: Allongement du délai pour avis motivé du comité d'éthique + Autorisation écrite préalable obligatoire
  - Exigences post-AMM accrues: surveillance, pharmacovigilance, traçabilité
- Création du Comité des Thérapies Innovantes

# Encadrement des produits de TI(3)

## **Autres produits (artisanaux): droit français**

« préparations »

- Mesure de sécurité sanitaire
  - Autorisations d'activités
  - Autorisations des procédés
- Comités spécifiques
  - Commission de thérapie génique et cellulaire
  - Haut Conseil des Biotechnologies

# Encadrement des produits de TI(4)

## **Cas particulier: Médicaments de thérapie innovante préparés de façon ponctuelle**

(utilisés en France, dans un hôpital, responsabilité d'un médecin, prescription médicale déterminée, malade déterminé)

- Droit de l'UE: Création de la catégorie juridique
- Droit français: réglementation

# Produits de thérapie innovante (1)

Thérapie génique et Thérapie cellulaire xénogénique



Droit de l'UE  
Médicaments de  
Thérapie innovante



Droit français



Spécialités pharmaceutiques  
Industrielles

- préparés de façon ponctuelle
- utilisés en France
- dans un hôpital
- responsabilité d'un médecin
- prescription médicale déterminée
- malade déterminé

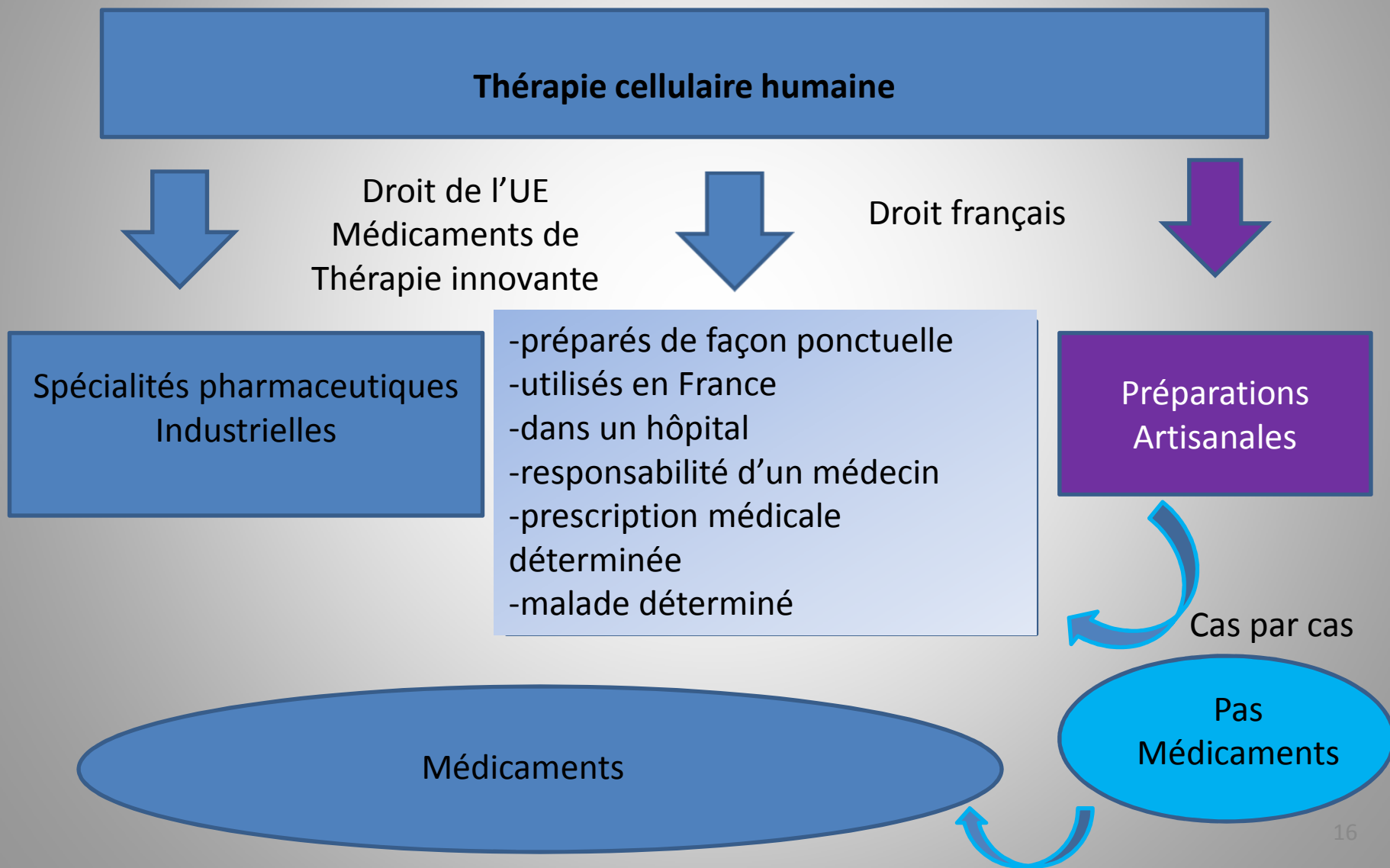
Préparations  
Artisanales



Cas par cas

Médicaments

# Produits de thérapie innovante (2)





# Les principes juridiques de protection (1)

- La protection de l'intégrité de l'espèce humaine:
  - Interdiction de la thérapie génique germinale
  - Interdiction du transfert nucléaire de cellule somatique dans un ovule énucléé :
    - clonage humain à visée reproductive: crime
    - à des fins thérapeutiques ou scientifiques: délit
  - Interdiction de création d'embryons transgéniques ou chimériques

# Les principes juridiques de protection (2)

- La protection de la vie humaine
  - Principe d'interdiction de la recherche sur l'embryon humain, les cellules souches embryonnaires et les lignées de cellules souches
  - Mais dérogation possible:
    - Sous conditions strictes
    - Autorisation délivrée par l'Agence de la Biomédecine
    - Plus de limitation temporelle

# Les principes juridiques de protection (3)

- Respect de la vie humaine: Non Brevetabilité  
Utilisations d'embryons humains à des fins industrielles ou commerciales:
  - en France acception large retenue donc exclusion des CSE et lignées de CSE
  - Office Européen des Brevets (2008): critère de destruction de l'embryon
  - Cour de Justice de l'Union Européenne (2011): critère de destruction de l'embryon humain ou de son utilisation comme matériau de départ

# Enjeux non résolus (1)

- Qualification

Élément du corps → Produit de santé

- Prérequis: don
- Critères scientifiques: transformation
- Critères d'acceptabilité sociale: consentement

Produit de santé → Élément du corps

- Prérequis: administration au patient
- Non localisation: absence de dispositif médical+ usage autologue

## Enjeux non résolus (2)

- Don/Propriété

Élément du corps → Produit de santé

Non propriété → DON → Appropriation:

Du domaine public au domaine privé?

## Enjeux non résolus (3)

- Don gratuit/Commercialisation

Élément du corps → Produit de santé

Don gratuit → Bénéfice financier pour  
l'exploitant

-Retour sur investissement

-Rémunération du travail

Mais altruisme et solidarité du donneur sans  
rémunération

## Enjeux non résolus (4)

- Consentement

- Clef du changement de régime

- Clef de l'appropriation et de la commercialisation

Repenser l'information du donneur et le contenu du consentement

- utilisations futures non connues

- toujours mentionner la possibilité d'exploitation industrielle et commerciale?

# Conclusion (1)

- Domaine extrêmement mouvant
- Appréhension juridique imparfaite
  - Repenser le régime juridique des produits de thérapie innovante principalement en fonction des utilisations des éléments du corps humain: scientifiques, thérapeutiques, industrielles, commerciales?
  - Assouplissement des principes protecteurs en droit français ou maintien strict des traditions bioéthiques françaises?

Problème : consensus impossible



## Conclusion (2)

- Fort impact du droit de l'UE
  - Vers un renforcement de la protection de l'embryon: Décision sur la non brevetabilité des inventions sur des cellules souches embryonnaires humaines
  - Vers un amoindrissement de « l'exceptionnalisme » français concernant les préparations de thérapie cellulaire humaine:
    - Réduction du nombre de préparations soumises à ce régime spécifique
    - Intérêt de son maintien?

# Merci pour votre attention!

[mahalat@cict.fr](mailto:mahalat@cict.fr)

This work has been supported by THERACELS  
project:

**Medical uses of stem cells faced to administrative  
regulation**

(Projet JC08\_318187 responsable : V. Tournay,  
Grenoble)

