



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

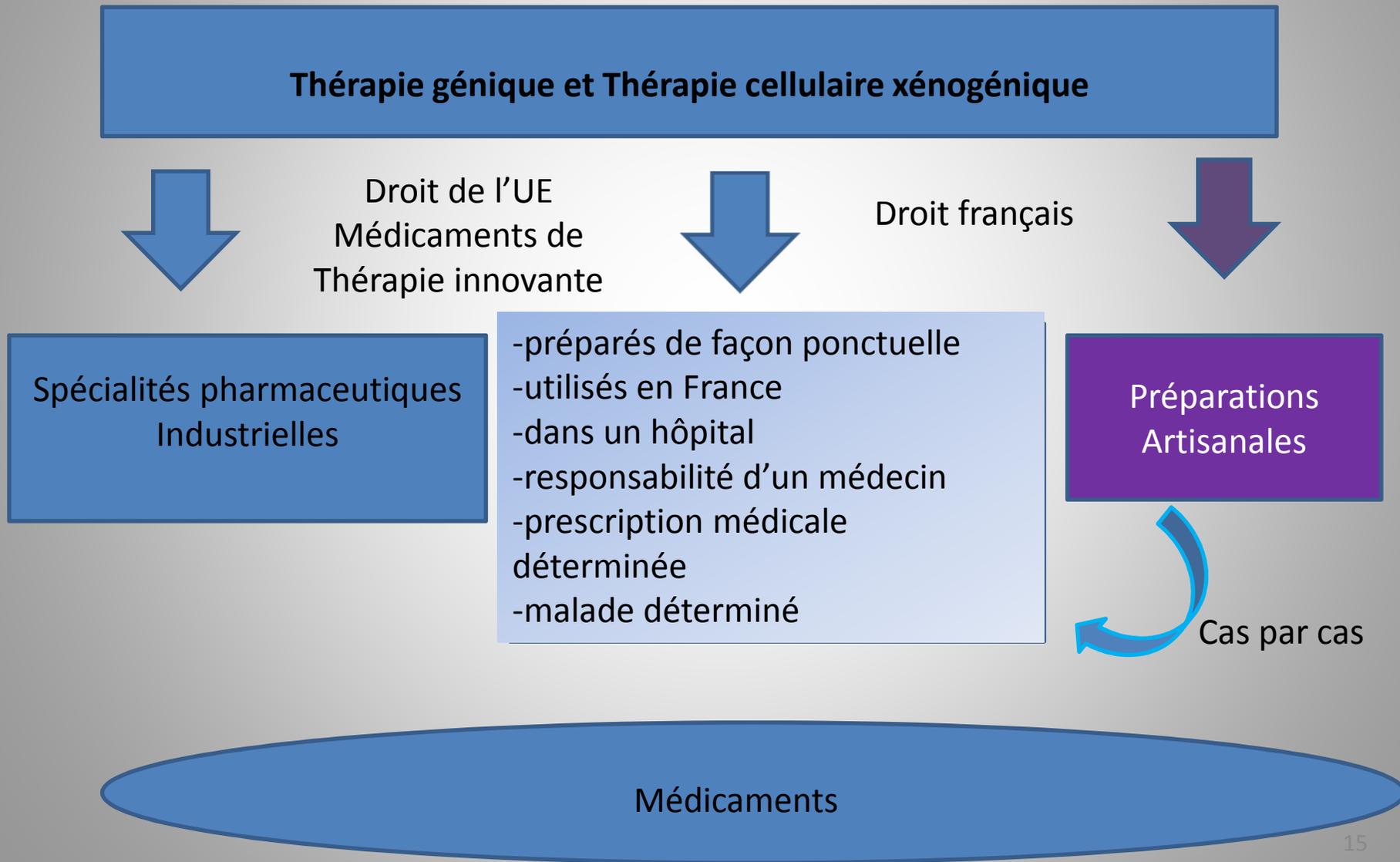
Encadrement des produits de TI(4)

Cas particulier: Médicaments de thérapie innovante préparés de façon ponctuelle

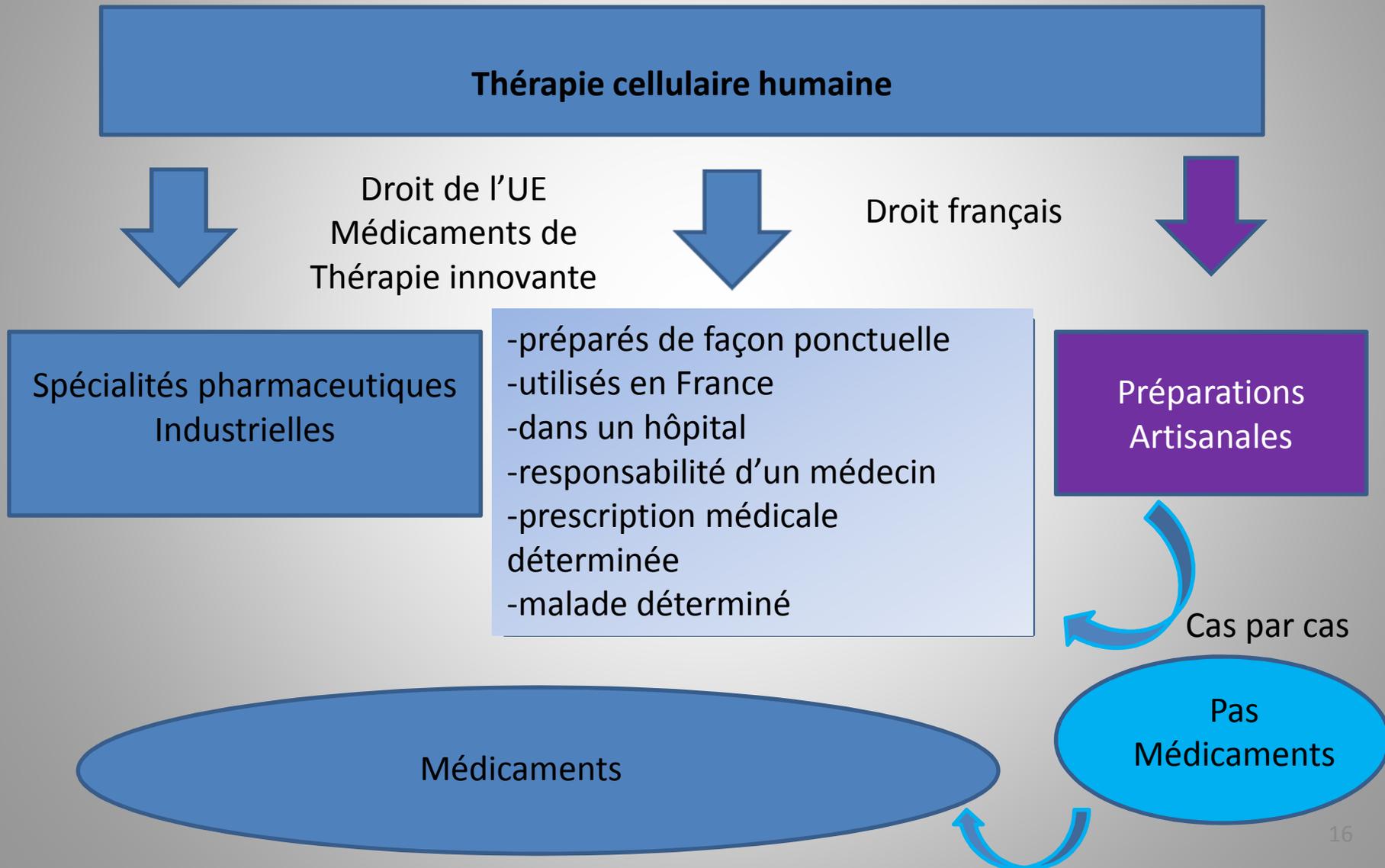
(utilisés en France, dans un hôpital, responsabilité d'un médecin, prescription médicale déterminée, malade déterminé)

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

Produits de thérapie innovante (1)



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

This work has been supported by THERACELS
project:

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

(Projet JC08_318187 responsable : V. Tournay,
Grenoble)

