

L'octroi d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle pour un médicament de type « CAR-T cell » pour le traitement du lymphome à cellules du manteau

Marianne FARES

Titulaire du Master 2 Juriste européen et du DU DESAPS

Étudiante à l'Institut d'Études Judiciaires de Toulouse

À titre liminaire, il convient de préciser que « *l'acronyme « CAR » désigne un récepteur chimérique reconnaissant spécifiquement un antigène (« Chimeric Antigen Receptor ») exprimé à la membrane des cellules que la thérapie cherche à cibler* »¹.

Le Tecartus est donc un médicament à base de lymphocytes T autologues, c'est-à-dire produit « *à partir des propres cellules du patient* »² (par opposition aux CAR-T Cells allogéniques qui, pour leur part, « *sont produits à partir de cellules d'un donneur* »³), et préconisé pour « *le traitement de patients adultes atteints d'un cancer rare des globules blancs appelé lymphome à cellules du manteau (LCM) lorsque les symptômes ou la maladie reviennent (rechute) ou lorsque [les patients] ne répondent pas (réfractaires) après deux ou plusieurs lignes de thérapie systémique* »⁴. Il est à noter que de tels médicaments « *sont réglementairement classés en Europe comme des médicaments de thérapie génique appartenant au groupe des médicaments de thérapies innovantes, tels que définis par le règlement européen CE 2007/1394* »⁵.

La circonstance que le Tecartus ne soit que « *le troisième médicament « CAR1-T cell » à être recommandé pour approbation au niveau de l'UE* »⁶ peut notamment s'expliquer par le fait que le « *haut degré d'innovation [de ces médicaments] a de longue date présupposé pour les*

¹ Rial-Sebbag, Emmanuelle, et Christian Chabannon. « Chapitre 6. Enjeux juridiques et pour le système de santé du développement d'une nouvelle classe de médicaments de thérapie innovante en onco-immunologie : les “Car-T Cells” », *Journal international de bioéthique et d'éthique des sciences*, vol. vol. 29, no. 2, 2018, pp. 113-128.

² *Ibid.*

³ *Ibid.*

⁴ Agence européenne des médicaments (EMA) – Site internet officiel : [First CAR-T cell medicine for mantle cell lymphoma | European Medicines Agency \(europa.eu\)](http://First CAR-T cell medicine for mantle cell lymphoma | European Medicines Agency (europa.eu)).

⁵ Rial-Sebbag, Emmanuelle, et Christian Chabannon. « Chapitre 6. Enjeux juridiques et pour le système de santé du développement d'une nouvelle classe de médicaments de thérapie innovante en onco-immunologie : les “Car-T Cells” », *Journal international de bioéthique et d'éthique des sciences*, vol. vol. 29, no. 2, 2018, pp. 113-128.

⁶ Agence européenne des médicaments (EMA) – Site internet officiel : [First CAR-T cell medicine for mantle cell lymphoma | European Medicines Agency \(europa.eu\)](http://First CAR-T cell medicine for mantle cell lymphoma | European Medicines Agency (europa.eu)).

agences de régulation une vigilance accrue concernant leur mise sur le marché et leur post-commercialisation »⁷.

C'est notamment ce qui ressort du communiqué de presse de l'Agence européenne des médicaments (EMA) en date du 16 Octobre 2020, annonçant la recommandation de l'EMA en faveur de « *l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle dans l'Union européenne* » pour le médicament Tecartus.

Il convient de rappeler que les autorisations de mise sur le marché (AMM) conditionnelles sont des autorisations « *délivrées précocement avec demande d'un complément d'évaluation après l'AMM* »⁸, et visent donc à encourager la mise sur le marché rapide de médicaments qui répondent à des « *besoins médicaux non-satisfait* », tel qu'il ressort de la situation exposée par le communiqué de presse de l'EMA. En plus de la condition relative à l'existence d'un besoin médical non satisfait, l'octroi d'une AMM conditionnelle est soumis à trois autres conditions. En effet, il doit non seulement être possible d'établir un rapport bénéfice-risque favorable compte tenu des données disponibles, mais le laboratoire concerné doit également s'engager « *à conduire des études épidémiologiques sur certains points qui n'auraient pas pu être [...] approfondis pour le moment, notamment en raison du manque de connaissances scientifiques en la matière* »⁹. De surcroît, « *le bénéfice de la disponibilité immédiate du médicament pour les patients [doit être] supérieur au risque inhérent au fait que des données supplémentaires sont toujours nécessaires* »¹⁰.

Compte tenu de ces exigences attachées à l'octroi d'une AMM conditionnelle, l'EMA a affirmé, dans son communiqué de presse, que « *dans son évaluation globale des données disponibles, le Comité des médicaments de thérapie innovante (CAT), [qui est] le comité d'experts de l'EMA pour les médicaments cellulaires et géniques, a constaté que les bénéfices de Tecartus l'emportaient sur les risques éventuels* », et ce en dépit de l'existence d'effets secondaires dont les conséquences sont susceptibles, dans certains cas, d'être fatales.

⁷ Rial-Sebag, Emmanuelle, et Christian Chabannon. « Chapitre 6. Enjeux juridiques et pour le système de santé du développement d'une nouvelle classe de médicaments de thérapie innovante en onco-immunologie : les “Car-T Cells” », *Journal international de bioéthique et d'éthique des sciences*, vol. vol. 29, no. 2, 2018, pp. 113-128.

⁸ Toussaint, Bruno. « La régulation du médicament par les normes (AMM, SMR, ASMR...) », *Les Tribunes de la santé*, vol. 64, no. 2, 2020, pp. 87-97.

⁹ « Focus », *Les Tribunes de la santé*, vol. 30, no. 1, 2011, pp. 15-21.

¹⁰ Agence européenne des médicaments (EMA) – Site internet officiel : [Conditional marketing authorisation | European Medicines Agency \(europa.eu\)](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/conditional-marketing-authorisation).