Les produits biologiques

Read the english version

Préparations de thérapie cellulaire

Les préparations de thérapie cellulaire sont des **cellules humaines utilisées à des fins thérapeutiques autologues** (c'est-à-dire que le donneur et le receveur sont une même personne)**, ou allogéniques** (le receveur et le donneur sont alors deux personnes différentes) quel que soit le niveau de transformation et y compris leurs dérivés et qui ne répondent pas à la définition du médicament de thérapie innovante.
Les préparations de thérapie cellulaire sont **autorisées par l'ANSM** après évaluation de leurs données qualité, non cliniques et cliniques.
L'ANSM autorise les établissements exerçant des activités de conservation et de distribution des préparations de thérapie cellulaire.
La surveillance de ces préparations relève de la biovigilance, qui assure la surveillance, l'évaluation, la prévention et la gestion des incidents ou risques liés à l'utilisation à des fins thérapeutiques des produits de thérapie cellulaire et d'autres éléments et produits issus du corps humain (organes tissus, lait maternel…).
L'Agence de la biomédecine (ABM) est l'autorité compétente en matière de biovigilance, c'est-à-dire de surveillance des incidents et des effets relatifs, aux tissus.

Médicaments de thérapie innovante (MTI)

Les médicaments de thérapie génique

Un médicament de thérapie génique est un **médicament biologique** qui a les caractéristiques suivantes :

- il contient un **acide nucléique** recombinant qui est administré à des personnes en vue de réguler, de réparer, de remplacer, d'ajouter ou de supprimer une séquence génétique ;
- son **effet thérapeutique, prophylactique ou diagnostique** dépend directement de la séquence d'acide nucléique recombinant qu'il contient ou au produit de l'expression génétique de cette séquence.

Les vaccins contre les maladies infectieuses ne sont pas compris dans les médicaments de thérapie génique.

Les médicaments de thérapie génique (fabriqués industriellement) ou spécialités pharmaceutiques de thérapie génique sont soumis à l'obtention, préalablement à leur mise sur le marché, d'une **autorisation délivrée par la Commission européenne**.
Ils doivent être fabriqués par un établissement pharmaceutique autorisé.

Les médicaments de thérapie cellulaire

Un médicament de thérapie cellulaire est un médicament qui présente les caractéristiques suivantes :

- il **contient des cellules ou des tissus** qui ont fait l'objet d'une manipulation substantielle de façon à modifier leurs caractéristiques biologiques, leurs fonctions physiologiques ou leurs propriétés structurelles ou des cellules ou tissus qui ne sont pas destinés à être utilisés pour la ou les mêmes fonctions chez le receveur et le donneur ;
- il est présenté comme possédant des propriétés permettant de traiter, de prévenir ou de diagnostiquer une maladie à travers l'action métabolique, immunologique ou pharmacologique de ses cellules ou tissus, ou est utilisé chez une personne ou administré à une personne dans une telle perspective.

Les médicaments issus de l'ingénierie tissulaire

Un produit issu de l'ingénierie tissulaire est un produit qui présente les caractéristiques suivantes :

- il **contient des cellules ou tissus issus de l'ingénierie cellulaire ou tissulaire** , comme des cellules ou tissus soumis à une manipulation substantielle, ou qui ne sont pas destinés à être utilisés pour la même fonction essentielle chez le receveur et chez le donneur ;
- il est présenté comme possédant des propriétés lui permettant de régénérer, réparer ou remplacer un tissu humain, ou

est utilisé chez l’être humain ou administré à celui-ci dans ce but.

Il existe également des MTI combinés qui intègrent un dispositif médical en plus de sa partie tissulaire ou cellulaire.

Produits sanguins labiles

Les produits sanguins labiles (PSL) sont des **produits issus du sang d’un donneur, destinés à être transfusés à un patient**. Il s’agit notamment du sang total, du plasma et des cellules sanguines d'origine humaine, ainsi que leurs transformations.

Parmi ces produits, on distingue les produits autologues (le donneur de sang et le patient receveur sont une même personne) des produits homologues ou allogéniques (le donneur de sang et le (s) patient(s) receveur(s) sont des personnes différentes).

Les produits sanguins labiles autorisés en France sont inscrits sur la liste et caractéristiques des PSL, fixée par décision de l’ANSM après avis de l’Etablissement français du sang (EFS) et du Centre de transfusion sanguine des armées (CTSA). En effet, les médicaments dérivés du sang ne sont pas régis par les mêmes règles d’autorisation que les autres médicaments.
Seuls les produits sanguins labiles inscrits sur cette liste peuvent être distribués ou délivrés à des fins thérapeutiques.

L’utilisation thérapeutique de ces produits est soumise à un système de vigilance dit «**hémovigilance** » qui consiste en la surveillance et l'évaluation des incidents, ainsi que des effets indésirables survenant chez les donneurs ou les receveurs de PSL. Cette hémovigilance porte sur l'ensemble de la chaîne transfusionnelle allant de la collecte des PSL jusqu'au suivi des receveurs. Elle comprend également le suivi épidémiologique des donneurs.

Produits thérapeutiques annexes

Les produits thérapeutiques annexes (PTA) sont des produits qui, avant leur utilisation thérapeutique chez l'homme, entrent en contact avec des organes, tissus, cellules ou produits issus du corps humain ou d'origine animale au cours de leur conservation, préparation, transformation, conditionnement ou transport.

Depuis début 2016, le statut PTA a été abrogé et les détenteurs des AMM des PTA ont dû faire une demande d’AMM ou de mise en conformité avec les dispositifs DM (marquage CE notamment).

Tissus d’origine humaine ou animale

Un **tissu est un groupe de cellules** de structure similaire spécialisée dans une même fonction. Il pourra par exemple s’agir des cornées, des os, des éléments de l'appareil locomoteur, des valves cardiaques, des vaisseaux - artères et veines -, de la peau ou encore des tissus endocriniens.

Les tissus sont **autorisés par l’ANSM** après évaluation des données qualité, non clinique et clinique. Leur surveillance relève de la biovigilance comme celle des préparations de thérapie cellulaire.

L’ANSM autorise les établissements exerçant des activités de conservation et de distribution des tissus.