

# Compte-rendu

Direction : Direction de l'Inspection  
Pôle : INSBIO1  
Personnes en charge : Béatrice PANTERNE

## Comité d'Interface dédié aux Médicaments de Thérapie Innovante (MTI) Séance du 3 octobre 2025

### Ordre du jour

N°	Points prévus à l'ordre du jour	Pour avis, audition, information, adoption ou discussion
1	<b>Point d'information sur les actualités européennes – DEI – DMS – DMM1 :</b> - Retour du CAT - Le système PRIME : une opportunité pour le développement des MTI - CAR-T dans les maladies auto-immunes	Pour information et discussion
2	<b>Aspects réglementaires –DMS - DI</b> - Gestion des résultats hors spécifications et défauts qualité : les circuits de déclaration - Révision de la partie IV des BPF - « Concept paper » - Point sur la fabrication décentralisée - Autorisations des établissements et mise en insu des MTI exp.	Pour information
3	<b>Intervention externe</b> Présentation de l'article « Mapping the European landscape and specificity of ATMPs guidance » Mme Aurélie MAHALATCHIMY – Université d'Aix-Marseille	Pour information et discussion
4	Date des réunions 2026	Pour information

## Membres et autres participants

Nom des participants	Entité /Direction	Présent	Absent/ excusé
Dr. Céline AUXENFANS	HCL – Hôpital Edouard Herriot	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Pascale PASCAL	HCL – Hôpital Edouard Herriot	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Pr. Danièle BENSOUSSAN – LEJZEROWICZ	CHU Nancy	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Mélanie GAUTHIER	CHU Nancy	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Véronique DECOT	CHU Nancy	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Dr Boris CALMELS	IPC Marseille	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Pr Christian CHABANNON	IPC Marseille	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Karine TERTRAIS	EFS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Ariane GALAUP	LEEM	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Pr. Julie KERR-CONTE	CHRU Lille	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Sandrine BELAICH	CHU Lille	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Aurélié BISSON	CHU Rouen	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Dr. Camille GIVERNE	CHU Rouen	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Dr Valérie LAPIERRE	IGR Villejuif	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Dr Jean-Roch FABREGUETTES	Centre Meary AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Dr. Elisa MAGRIN	CHU Necker AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Caroline TUCHMANN-DURAND	CHU Necker AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Sébastien BANZET	CTSA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Elodie ORMES	CTSA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
M. Julien ROMANETTO	France Biotech	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Mme Valérie SALENTEY	France Biotech	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
M. Laurent LAFFERRERE	France Bioleads	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
M. Alexis BEHRA	France Bioleads	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Pr. Florence SABATIER	CHU Conception AP-HM	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
Dr Julie VERAN	CHU Conception AP-HM	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Mme Mélanie VELIER	CHU Conception AP-HM	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Dr. Beatrice CLEMENCEAU	CHU Nantes	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

<b>Dr Florence VRIGNAUD</b>	CHU Nantes	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Mme Laure BOQUET</b>	AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Mme Aurélie ZINDJIRDJIAN</b>	AP-HP	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Mme Aurélie MAHALATCHIMY</b>	Université Aix-Marseille	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>M. Valentin ROBY</b>	Université Aix-Marseille	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

## Participants ANSM

Nom des participants	Entité /Direction	Présent	Absent/ excusé
<b>Violaine CLOSSON-CARELLA</b>	DEI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Solène MAITENAZ</b>	DEI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Claire GERARD</b>	DEI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Guillaume VAQUER</b>	DEI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Flore BERTIN</b>	DI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Vanessa BOUABDALLAOUI</b>	DI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Mathieu LE DEM</b>	DI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Michelle MARCHAL</b>	DI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Béatrice PANTERNE</b>	DI	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Lisa DEBIN</b>	DMM1	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Coralie DELIGNY</b>	DMM1	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
<b>Marianne DELVILLE</b>	DMM1	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Marie HELBERT</b>	DMM1	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Agnès MAMBOLE-DEMA</b>	DMM1	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Jérôme BEAUFORT</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Elodie BOUSQUET</b>	DMS	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>
<b>Xavier CHENIVESSE</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Laure de LIGNIVILLE</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Marie-Thérèse DUFFOUR</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Gabriela ULLIO-GAMBOA</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>Tristan RALLON</b>	DMS	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Nadine SPIELVOGEL	DRD	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Caroline FEDRIGO	DA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Timothée LAVRY	DA	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Claire MENORET	DA	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>

## Acronymes

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché  
 AP-HP : Assistance Publique – Hôpitaux de Paris  
 ATMPs : Advanced Therapy Medicinal Products  
 BPF: Bonnes Pratiques de Fabrication  
 CAT : Committee for Advanced Therapies  
 CAR-T: Chimeric Antigen receptor-T  
 CHMP : Committee of Medicinal Products for Human use  
 CHU: Centre Hospitalier Universitaire  
 CHRU: Centre Hospitalier Régional Universitaire  
 CTIS : Clinical Trials Information System  
 CTSA : Centre de Transfusion des Armées  
 DCI: Dénomination Commune Internationale  
 DA : Direction des Autorisations  
 DEI : Direction Europe et Innovation  
 DI : Direction de l'Inspection  
 DMM1 : Direction Médicale des Médicaments 1  
 DMS : Direction des Métiers Scientifiques  
 DRD : Direction Règlementation et Déontologie  
 EC : Essais Cliniques  
 EFS: Etablissement Français du Sang  
 EMA : European Medicine Agency  
 IGR : Institut Gustave Roussy  
 IMPD : Investigational Medicinal Product Dossier  
 IPC : Institut Paoli Calmettes  
 LEEM : Les Entreprises du Médicament  
 HCL : Hospices Civils de Lyon  
 MAH : Marketing Authorisation Holder  
 MIA : Manufacturing Importation Authorization  
 MTI : Médicament de Thérapie Innovante  
 MTIpp : Médicament de Thérapie Innovante préparé ponctuellement  
 OOS : *Out Of Specifications*  
 Ph Eur : Pharmacopée européenne  
 PME : Petites et Moyennes Entreprises  
 Q&A : Questions and Answers  
 R&D: Recherche et Développement

## Introduction

En ouverture de séance, il est rappelé que les ordres du jour et comptes rendus du comité d'interface dédié aux MTI sont accessibles sur le site internet de l'ANSM. Les documents sont consultables dans la rubrique « événements ».

## 1- Point d'information sur les actualités européennes

### Retour du CAT/CHMP : point sur les AMM européennes MTI

NOM	AMM	Date d'AMM	DCI	MAH	Indication
AUCATZYL	CMA	Opinion positive CAT/CHMP : mai 2025 AMMc 17/07/2025	obecabtagene autoleucel  CAR-T cells autologues antiCD19	Autolus GmbH	Traitement des patients adultes âgés de 26 ans et plus atteints de leucémie lymphoblastique aiguë à précurseurs B (LLA B) en rechute ou réfractaire (r/r)
ZEMCELPRO	CMA	Opinion positive CAT/CHMP juin 2025 AMMc 25/08/2025	Dorocubicel  Allogeneic umbilical cord-derived CD34-cells, non-expanded Thérapie cellulaire	Cordex Biologics International Limited	Traitement des patients adultes atteints d'hémopathies malignes nécessitant une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques après un conditionnement myéloablatif et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur appropriées n'est disponible.

### Information des GT thérapie génique et thérapie cellulaire de la Pharmacopée européenne

Le Chapitre général 5.34 (Informations complémentaires sur les médicaments de thérapie génique pour usage humain) est en enquête publique jusqu'à fin novembre 2025 pour l'ajout d'une section sur les Médicaments de thérapie génique à ARNm pour usage humain.

### Le système PRIME (PRiority of MEDicine) : une opportunité pour le développement des MTI

Le système PRIME est un dispositif mis en place par l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour accélérer le développement et l'accès au marché des médicaments perçus comme innovants. Il s'adresse à des développeurs de médicaments pour des médicaments ayant le potentiel de répondre à un besoin médical non satisfait.

L'éligibilité à PRIME et le niveau de données requises dépendent à la fois du statut du demandeur et de l'étape de développement atteinte :

- A partir de l'étape « Preuve de principe » (ouvert aux PME enregistré à l'EMA et centres académiques), les éléments qui doivent être fournis sont :
  - Une justification pharmacologique solide, un concept scientifique convaincant ;
  - Les effets non cliniques pertinents d'une ampleur et d'une durée suffisante ;
  - Une tolérance dans les premiers essais chez l'homme ;
- A partir de l'étape « Preuve de concept » (tout promoteur), les éléments qui doivent être fournis sont :
  - Une justification pharmacologique solide ;
  - Une réponse clinique, efficacité et sécurité chez les patients (essais exploratoires menés) ;

- Une amélioration substantielle observée ;
- L'ampleur, la durée et la pertinence des résultats doivent être jugées au cas par cas.

Les caractéristiques du programme PRIME sont les suivantes :

- Confirmation écrite de l'éligibilité à PRIME et de la possibilité d'une évaluation accélérée ;
- Nomination d'un rapporteur au sein du CHMP en charge du suivi à chaque étape du développement ;
- Réunion formelle de lancement avec des experts multidisciplinaires du réseau de l'UE ;
- Des avis scientifiques proposés aux étapes clés du développement ;
- Point de contact dédié à l'EMA ;
- Incitations financières pour les PME et les universitaires dans le cadre des demandes d'avis scientifiques ;

D'après les données rendues publiques par l'EMA, il y a eu 20 désignations PRIME pour des MTI depuis 2022 dont 2 issues de développements portés par des centres académiques. Neuf sont issues de « start-up » et PME, généralement sur la base de données non cliniques et de données cliniques exploratoires ; et 12 de laboratoires pharmaceutiques sur la base de données non cliniques et cliniques.

La liste est disponible sur : <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/chmp-working-parties-other-groups/scientific-advice-working-party>

L'ANSM attire l'attention des participants du comité sur la portée de cette procédure de désignation, qui s'appuie sur une évaluation des données non-cliniques et cliniques qui ont pu être générées en amont et lors des phases précoces de développement. Le GIO reste à la disposition des porteurs de projet, en particuliers des centres académiques, qui mettent en œuvre de tels essais en phase précoce pour les accompagner dans la préparation de ces démarches auprès de l'EMA.

### Etat des lieux des essais CAR-T autorisés en France dans les maladies auto-immunes

L'utilisation des cellules CAR-T (*Chimeric Antigen Receptor T cells*) dans le traitement des maladies auto-immunes est un domaine de recherche en plein essor. En France, on dénombre actuellement **14 essais cliniques déjà autorisés et pour lesquels le recrutement de patient va débiter**, chacun portant sur des approches de type CAR-T spécifique, faisant l'objet de recherches dans une ou plusieurs maladies auto-immunes et notamment :

- Lupus systémique
- Néphrite lupique
- Idiopathic Inflammatory Myopathy (IMM) ou myopathies inflammatoires idiopathiques
- Systemic Sclerosis (SSc) ou sclérodermie
- Rheumatoid Arthritis (RA) ou arthrite rhumatoïde
- Sjogren
- SEP (Sclérose En Plaques) récurrente-rémittente
- SEP progressive
- Myasthénie
- Vascularite à ANCA (AAV)

Les produits sont les suivants : CD19-CAR-T autologues, CD19-CAR-T allogéniques et CD19-*targeted* CAR iNK allogéniques. Certains de ces projets de recherche clinique ont donné lieu à un accompagnement en amont des demandes d'autorisation d'essai clinique, dont 4 avis au GIO de l'ANSM et 2 procédures SNSA (*simultaneous national scientific advice*) impliquant l'ANSM.

### Chiffres clé :

Les développements en cours se concentrent sur la phase précoce avec 10 essais de phase I et I/II et 4 essais de phase II dont 1 essai randomisé. La majorité a été autorisée en au cours du premier semestre 2025 avec une ouverture prochaine des centres. La plupart des essais sont multinationaux, à l'exception de l'essai d'un promoteur académique dont il est prévu une mise en œuvre uniquement en France.

## 2- Aspects réglementaires

### Gestion des résultats hors spécifications et défauts qualité : les circuits de déclaration

Un circuit de déclaration et de gestion des résultats hors spécifications (OOS) concernant les MTI composés de tissus ou de cellules, des défauts qualité et autres déviations est en place à l'ANSM pour les MTI avec AMM, les MTI-PP, les MTI expérimentaux, les MTI-PP expérimentaux ainsi que les MTI en accès précoce (AP) et en accès compassionnel (AC). Il s'applique dans les cas suivants : retraitement (produit conforme), déviations non planifiées (produit conforme), défaut qualité confirmé (OOS) et OOS portant sur les tissus/cellules avec administration du médicament nécessaire pour le patient.

Pour chacun de ces cas, les modalités suivantes s'appliquent :

#### Retraitement (produit conforme) :

- MTI avec AMM et MTI-PP: Le retraitement n'est, en principe, permis que s'il est prévu dans l'AMMc ou l'autorisation de MTI-PP → **pas d'information à l'autorité compétente** ;
- MTI-PP → à titre exceptionnel, s'il n'est pas prévu dans l'autorisation : une information obligatoire à l'ANSM adressée à la direction **DMM1** doit être faite. Cela peut être nécessaire lors de la survenue par exemple d'un incident non identifié au préalable nécessitant une étape supplémentaire pour préserver un produit rare ou unique en situation autologue ou allogénique ;
- Essai clinique (MTI-exp, MTI-PP exp) → information par **CTIS** (notification « unexpected event »)

#### Déviations non planifiées (produit conforme) :

- Pas d'information nécessaire à l'ANSM ;
- Les déviations seront analysées et intégrées à la **Revue Qualité** ou pour les MTI-PP au **Rapport d'activités** à soumettre sur : <https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/ansm-ra-mtippmtiexp-v1>

#### Défaut qualité confirmé (OOS) :

- MTI avec AMM → « Quality defect report » à envoyer à l'EMA : [gdefect@ema.europa.eu](mailto:gdefect@ema.europa.eu) ;
- MTI-PP et MTI en AP ou AC → information à l'ANSM via le formulaire internet : <https://ansm.sante.fr/vos-demarches/patient/signaler-un-defaut-qualite-sur-un-medicament> à envoyer à : [dvs.defauts-qualite@ansm.sante.fr](mailto:dvs.defauts-qualite@ansm.sante.fr) ;
- Essai clinique (MTI-exp, MTI-PP exp) → information par CTIS (notification « unexpected event »)

#### OOS tissus/cellules avec administration au patient nécessaire :

- MTI avec AMM → « Quality defect report » à envoyer à l'EMA : [gdefect@ema.europa.eu](mailto:gdefect@ema.europa.eu) ;
- et Information à l'autorité compétente du site de libération (ANSM si France) ;

(NB : Pas d'information nécessaire à l'ANSM lorsqu'un MTI avec AMM est administré en France, mais dont le site de libération n'est pas en France) ;

- MTI-PP et MTI en AP ou AC → information à l'ANSM via le formulaire internet : <https://ansm.sante.fr/vos-demarches/patient/signaler-un-defaut-qualite-sur-un-medicament> à envoyer à : [dvs.defauts-qualite@ansm.sante.fr](mailto:dvs.defauts-qualite@ansm.sante.fr)
- Essai clinique (MTI-exp, MTI-PP exp) → information par CTIS (notification « unexpected event »)

### Révision de la partie IV des BPF - « Concept paper »

Les objectifs de cette révision définis dans un « concept paper » de l'EMA sont disponibles au lien suivant : [https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/concept-paper-revision-part-iv-guidelines-good-manufacturing-practice-specific-advanced-therapy-medicinal-products\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/concept-paper-revision-part-iv-guidelines-good-manufacturing-practice-specific-advanced-therapy-medicinal-products_en.pdf).

Ce document vise à présenter les raisons et les évolutions proposées pour la mise à jour de la Partie IV des BPF spécifique aux MTI notamment suite à la révision de l'Annexe 1 des BPF entrée en vigueur en mai 2024. Un projet de révision de la partie IV est en cours de préparation par le groupe de travail « Inspection » de l'EMA et un 1er projet devrait être disponible au 2<sup>ème</sup> trimestre 2026 ; il sera soumis à commentaires du CAT et du groupe de travail sur les médicaments biologiques de l'EMA. Des points tels que les systèmes clos automatisés, le contrôle de stérilité, les substances extractibles, l'importation physique des MTI et l'inclusion des nouvelles technologies seront discutés.

L'objectif d'adoption de cette révision est fixé au 1<sup>er</sup> trimestre 2027.

### Point sur la fabrication décentralisée des MTI

Dans le cadre de la révision de la législation pharmaceutique, le sujet de la fabrication décentralisée est toujours en discussion au Conseil de l'Europe. La CE attend d'avoir plus d'informations sur cette nouvelle législation pharmaceutique pour fournir des commentaires sur le texte proposé dans le cadre d'un document « Questions/Réponses » qui sera publié pour clarifier cette fabrication décentralisée en particulier pour les MTI. Les commentaires sont prévus pour la fin de l'année.

Par ailleurs, il est à noter la mise en place d'un consortium européen industrie-académiques comprenant 18 partenaires pour la fabrication décentralisée de cellules CAR-T.

### Autorisations des établissements et mise en insu des MTI expérimentaux

La mise en insu de MTI expérimentaux est une opération pharmaceutique de conditionnement consistant à cacher délibérément l'identité du produit conformément aux instructions du promoteur, notamment : l'apposition du code patient sur le conditionnement du MTI expérimental, les modalités d'étiquetage, et la levée de l'insu. Cette mise en insu doit être conduite en respectant les exigences du règlement (UE) 536/2014 (en particulier, son annexe VI : Etiquetage des médicaments expérimentaux et des médicaments auxiliaires). Les opérateurs fabriquant des MTI expérimentaux doivent appliquer spécifiquement les points suivants de la partie IV des BPF : 3.12 pour la formation du personnel, 6.22 pour les spécifications et instructions, 9.79, 9.81 et 9.83 pour le conditionnement et l'étiquetage ainsi que le point 14.18 pour la gestion d'un rappel de produit.

Concernant l'autorisation des établissements, la mise en insu étant une opération pharmaceutique liée au conditionnement, sa mise en œuvre doit être autorisée dans le cadre de l'autorisation du fabricant du MTI expérimental.

Tout établissement non autorisé à la mise en insu comporte dans son autorisation une clarification/restriction le précisant : « Ce site n'est pas autorisé à réaliser la mise en insu ». A l'inverse, si l'établissement est autorisé à la mettre en œuvre, aucune mention n'est précisée en clarification/restriction de l'autorisation.

Ce point est désormais valable dans le cadre des autorisations délivrées au titre de l'article L.4211-9-1 du CSP (précision apportée dans le format d'autorisation d'établissement MTI-PP en vigueur depuis juin 2025 mis à jour dans un objectif de cohérence avec le format européen et les exigences des BPF).

## 3- Présentation de l'article « Mapping the European landscape and specificity of ATMPs guidance »<sup>1</sup>

De nombreux documents d'orientation (« guidance ») ont été émis par diverses organisations nationales ou internationales en plus des textes législatifs s'appliquant aux médicaments de thérapie innovante (MTI) dans l'Union européenne. Ceux-ci comprennent des documents réglementaires, techniques et scientifiques (principalement des lignes directrices), et visent à soutenir la mise en œuvre du cadre législatif pharmaceutique européen. Les documents d'orientation sont particulièrement nécessaires, surtout dans un domaine en évolution rapide tel que celui des MTI, où les avancées scientifiques peuvent rapidement se traduire par des innovations thérapeutiques. Ils offrent la flexibilité et l'adaptation nécessaires qu'il serait impossible d'assurer dans la même mesure au niveau législatif, en considérant les délais habituels de révision, d'adoption et d'application des actes législatifs contraignants tels que le règlement relatif aux MTI ou les directives européennes sur les médicaments. Une telle nécessité a conduit à l'adoption précoce de documents d'orientation dans le domaine des thérapies géniques et cellulaires, les premiers documents apparaissant dans les années 1990. Cependant, cette adoption précoce s'accompagne d'une certaine complexité et d'une lisibilité difficile en raison de l'accumulation

---

<sup>1</sup> Aurélie Mahalatchimy, Valentin Roby, Julie Véran, Christian Chabannon, Florence Sabatier, Mapping the European landscape and specificity of ATMPs guidance, *Cytotherapy* (2025), Epub 20 June 2025, Volume 27, Issue 10, p.1262-1269, October 2025, DOI: 10.1016/j.jcyt.2025.06.008



de nouvelles règles non contraignantes à la suite de nouvelles découvertes scientifiques, et de réglementations opposables.

Sur la base de la collecte des documents d'orientation disponibles dans les sections consacrées aux MTI sur les sites Internet des institutions les plus actives dans la production de ces documents applicables au sein de l'Union européenne, ainsi que via le moteur de recherche de ces sites en utilisant une liste de mots-clés correspondant aux MTI ou à leurs sous-catégories, l'étude fournit la première analyse complète des documents d'orientation qui ont été produits et qui sont actuellement applicables dans le domaine des MTI et de leur relation avec la catégorisation des médicaments biologiques.

**1/** Cela a abouti à une collection de 126 documents d'orientation applicables aux MTI de juillet 1990 au 8 septembre 2023 ;

**2/** Cela montre que les documents d'orientation actuels sur les MTI proviennent principalement de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et du Conseil international pour l'harmonisation des exigences techniques des produits pharmaceutiques à usage humain (ICH), en ce qui concerne leurs sources, et qu'il s'agit principalement de lignes directrices concernant leurs catégories ;

**3/** Cela démontre que pour la majorité des documents d'orientation actuellement applicables aux MTI, il n'existe aucun chevauchement avec d'autres catégories de médicaments biologiques, ce qui indique qu'ils sont strictement spécifiques aux MTI ;

**4/** Les données indiquent que le chevauchement entre les MTI et d'autres produits biologiques concerne essentiellement la substance active et les produits finis parmi les catégories transversales, et les médicaments issus des biotechnologies parmi les différentes sous-catégories de médicaments biologiques.

Ces résultats ont été discutés à la lumière de leur utilité pour les acteurs médicaux et socio-économiques des biothérapies.

Cette étude conclut que la singularité des MTI est assez bien reflétée par les documents d'orientation qui leur sont applicables avec un nombre élevé et une grande diversité de documents. Bien que les chevauchements de ces documents applicables aux médicaments biologiques soient importants et puissent être anticipés en raison de leur origine biologique commune ainsi que des approches technologiques communes et des risques associés, il existe une volonté de la part des régulateurs, en particulier de l'EMA, de s'assurer que tous les documents applicables aux MTI soient accessibles en un seul endroit sur le site Internet de l'EMA. Cependant, leur grande quantité et diversité peut engendrer de la complexité et de la confusion : presque aucune distinction n'est faite entre les médicaments de thérapie cellulaire et ceux issus de l'ingénierie tissulaire dans ces documents ; l'absence quasi totale de lien entre les MTI et les médicaments biosimilaires suggère que ces derniers n'ont pas été conçus pour les MTI compte tenu de leur développement récent et de leur faible nombre par rapport aux médicaments issus des biotechnologies ; enfin la navigabilité actuelle des documents sur les MTI pourrait être améliorée.

## 4- Informations diverses.

**Date des prochaines réunions : 27 mars et 16 octobre 2026** (de 14h à 16h en visioconférence)