

Etablissement Français du Sang  
20 avenue Stade de France  
93 218 La Plaine Saint Denis Cedex

La Plaine Saint-Denis, le 18 mars 2013,

Objet : Consultation publique sur le Règlement Thérapies Innovantes

Veillez-trouver ci-dessous les commentaires de l'Etablissement Français du Sang (EFS), dans le cadre de la consultation publique sur la mise en œuvre du Règlement 1394/2007/CE (« Règlement Thérapies Innovantes »).

### **Commentaire général sur la mise en œuvre du Règlement Thérapies Innovantes**

L'EFS souhaite souligner le caractère novateur du cadre instauré par le Règlement 1394/2007/CE. Sa mise en œuvre au niveau national (décrets d'application, référentiels techniques), est encore récente et incomplète. Par conséquent, il est encore trop tôt pour réellement évaluer tous les effets de la mise en œuvre du Règlement 1394/2007/CE dans le cadre français.

Par ailleurs, les activités de recherche de l'EFS dans le domaine des médicaments de thérapies innovantes n'ont pas encore donné lieu à l'introduction d'une demande d'autorisation de mise sur le marché. L'EFS n'est donc pas en mesure de produire des commentaires détaillés sur les points 2.1, 2.2, 2.4 et 2.5 de cette consultation.

#### **2.1 Exigences dans le cadre des procédures d'autorisation de mise sur le marché de MTI**

A titre de commentaire général, l'EFS souhaite attirer l'attention sur le fait que la compréhension des mécanismes et procédures propres aux procédures d'AMM centralisée peut être source de difficultés pour un certain nombre d'acteurs du secteur des thérapies cellulaires et géniques.

Le site internet de l'EMA, pourtant source d'information de référence, est à ce titre assez confus et unilingue (anglais). En pratique, les autorités compétentes nationales jouent un rôle important de relais dans la compréhension de ces procédures, qui doit être soutenu.

#### **2.3 Exemption hospitalière**

L'EFS tient à souligner le rôle crucial que joue l'exemption hospitalière dans le développement des thérapies innovantes.

Elle encourage d'une part le développement de thérapeutiques pour des patients atteints de pathologies qui suscitent peu l'intérêt de l'industrie pharmaceutique, telles que les maladies rares ou orphelines.

Elle permet d'autre part le maintien d'un haut niveau d'innovation dans les hôpitaux, où sont en particulier initiés de nombreux essais cliniques.