

**OBSERVATIONS DU MINISTERE DE LA SANTE SUR LA CONSULTATION  
PUBLIQUE RELATIVE AUX PROPOSITIONS DE MODIFICATION DE L'ANNEXE  
I DE LA DIRECTIVE 2001/83/EC EN CE QUI CONCERNE LES MEDICAMENTS  
DE THERAPIE INNOVANTE**

Nos observations sont les suivantes :

**1) Sur les médicaments de thérapie Génique (p.5, 6 et 7 du document)**

Cette définition paraît trop restrictive car elle exclut certains produits qui doivent être considérés comme des produits de thérapie génique.

a) Il conviendrait que dans le premier alinéa du paragraphe 2.2.1 soit introduite la notion de nouvelle séquence génétique : en effet une stratégie courante en thérapie génique consiste à apporter une nouvelle séquence nucléique dont le but n'est pas la régulation, la réparation ou le remplacement d'un gène déficient mais l'apport d'une nouvelle fonction (par exemple recherche d'un effet immunologique ou protéine suicide).

b) Il conviendrait par ailleurs que soit supprimée la notion d'effet direct exclusif : en effet dans le cas de stratégie de protéine suicide l'effet clinique chez le patient est lié à l'administration concomitante d'une prodrogue.

La rédaction suivante est proposée :

« 2.2.1. *Gene therapy medicinal product*

means a medicinal product:

- that contains or consists of a nucleic acid sequence used in or administered to human beings, *in vivo* or *ex vivo*, with a view to regulating, repairing, ~~or~~ replacing a targeted genetic sequence **or adding a new genetic sequence**;

- whose therapeutic, prophylactic or diagnostic effect relates ~~directly~~ to the nucleic acid sequence it contains, or to the product of genetic expression of this sequence.

2) D'autre part, par souci de cohérence avec la définition de « starting materials » (point 1. de la p.6) qui inclut les plasmides dans cette définition, le point (i) du (a) du 5. (p7) pourrait être modifié en conséquence :

- soit en rajoutant le terme « plasmids». Ce point pourrait être ainsi rédigé :  
 “ i) In the case of products consisting of viral vectors, the starting materials are the components from which the viral vector is obtained, *i.e.* virus seed, **plasmids** and packaging cell line”.
- soit en remplaçant *i.e* par *e.g* .Ce point serait ainsi rédigé  
 « i) In the case of products consisting of viral vectors, the starting materials are the components from which the viral vector is obtained, ~~*i.e.*~~ **e.g** virus seed and packaging cell line”.

Il conviendra de vérifier la cohérence de l'ensemble du texte une fois que la définition de thérapie génique sera définitive.

## **2) Sur les médicaments combinés de thérapie innovante**

Au (1) du paragraphe 2.3.4., il conviendrait de substituer les termes « dévise »aux termes « medical device ». En effet, le paragraphe 2.3.4 ne traite pas des médicaments combinés de thérapie innovante au sens de l’article 2 (1) (d) du règlement, c'est à dire des médicaments incorporant des dispositifs médicaux dont la partie dispositif médical relève des directives régissant les dispositifs médicaux mais de médicaments combinés à des dispositifs, des matrices, des biomatériaux qui ne sont pas des dispositifs médicaux. Ce dernier type de médicament n’est pas soumis aux mêmes exigences de procédure que les médicaments combinés de thérapie innovante et il conviendrait d’ôter toute ambiguïté à ce sujet.