



## Faits marquants de l'année 2008

Résumé du rapport annuel de l'Agence européenne des médicaments pour l'année 2008

### Table des matières

<b>Table des matières</b> .....	<b>1</b>
<b>L'année en bref</b> .....	<b>2</b>
<b>Principales activités de l'année 2008</b> .....	<b>3</b>
Évaluation de médicaments à usage humain.....	3
Évaluation de médicaments à usage vétérinaire.....	10
Surveillance de la sécurité des médicaments .....	12
Renforcer la coopération avec les partenaires européens et internationaux.....	15
Favoriser la transparence, la communication et la fourniture d'informations.....	17
<b>Les recettes et effectifs en chiffres</b> .....	<b>18</b>

Le texte intégral du rapport annuel des activités menées en 2008 est disponible sur le site Internet de l'Agence, à l'adresse suivante:  
<http://www.emea.europa.eu/htms/general/direct/ar.htm>

## L'année en bref

L'année 2008 a été une année de consolidation et de progression régulière plutôt que de grands bonds en avant pour l'Agence européenne des médicaments (EMA).

Cependant, avec en toile de fond une mondialisation continue du secteur pharmaceutique, de nouvelles avancées rapides en science médicale et le rythme implacable de l'activité réglementaire au sein du réseau des médicaments de l'Union européenne (UE), 2008 n'a été en aucune façon une année «terne» pour l'Agence.

Le développement pharmaceutique et les essais cliniques des médicaments s'étendant toujours davantage au-delà des sphères traditionnelles d'Europe et d'Amérique du Nord, les autorités de régulation prennent de plus en plus vivement conscience du besoin de coopération internationale pour assurer que des pratiques sûres et éthiques soient utilisées pour le développement et la réalisation des essais des médicaments dans toutes les parties du monde. En 2008, l'Agence a intensifié sa coopération avec des partenaires internationaux, pour apporter sa contribution aux efforts mondiaux visant à fournir des médicaments plus sûrs et plus efficaces dans le monde entier.

Plus près de nous, l'Agence a continué à travailler avec ses partenaires institutionnels de l'UE et les autorités nationales de réglementation des États membres, pour stimuler l'innovation dans le secteur pharmaceutique, pour renforcer la surveillance de la sécurité des médicaments, pour échanger des connaissances sur une grande variété de questions et pour forger des relations étroites en vue de construire le meilleur système réglementaire possible pour l'Europe.

En ce qui concerne la tâche principale de l'Agence, c'est-à-dire l'évaluation, 2008 a été une année hautement productive. Le nombre d'avis positifs adoptés pour des demandes d'autorisation de mise sur le marché de médicaments à usage humain a été supérieur à celui de toutes les années antérieures. Ainsi, 66 nouveaux médicaments (notamment certains pour la prévention ou le traitement de maladies graves et débilitantes, comme le cancer des os chez les enfants, des maladies du système immunitaire, le VIH et la polyarthrite rhumatoïde) seront disponibles pour les citoyens européens.

Le travail d'évaluation concernant des médicaments pédiatriques, des médicaments pour les maladies rares, des médicaments à base de plantes et des médicaments vétérinaires a également été intensif en 2008, tandis que le volume de travail relatif aux activités de conseil scientifique, à la rédaction de lignes directrices, au traitement des demandes de modification et à la réalisation d'actions de pharmacovigilance était globalement d'une importance raisonnable.

L'Agence a consacré beaucoup d'efforts au cours de l'année à la préparation de l'entrée en vigueur du nouveau règlement de l'UE concernant les médicaments de thérapie innovante, un texte législatif qui renforcera grandement les procédures réglementaires relatives aux médicaments à la pointe de la science médicale.

Les pages suivantes présentent de brefs aperçus des activités de l'Agence dans chacun de ses domaines de priorité pour l'année, ainsi que les chiffres clés illustrant le volume et l'évolution de ses principales procédures scientifiques et réglementaires.

## Principales activités de l'année 2008

Ce chapitre présente une vue d'ensemble des principales activités de l'Agence européenne des médicaments pour l'année 2008, énumérées en fonction des domaines de priorité que l'Agence a elle-même définis dans son programme de travail pour l'année.

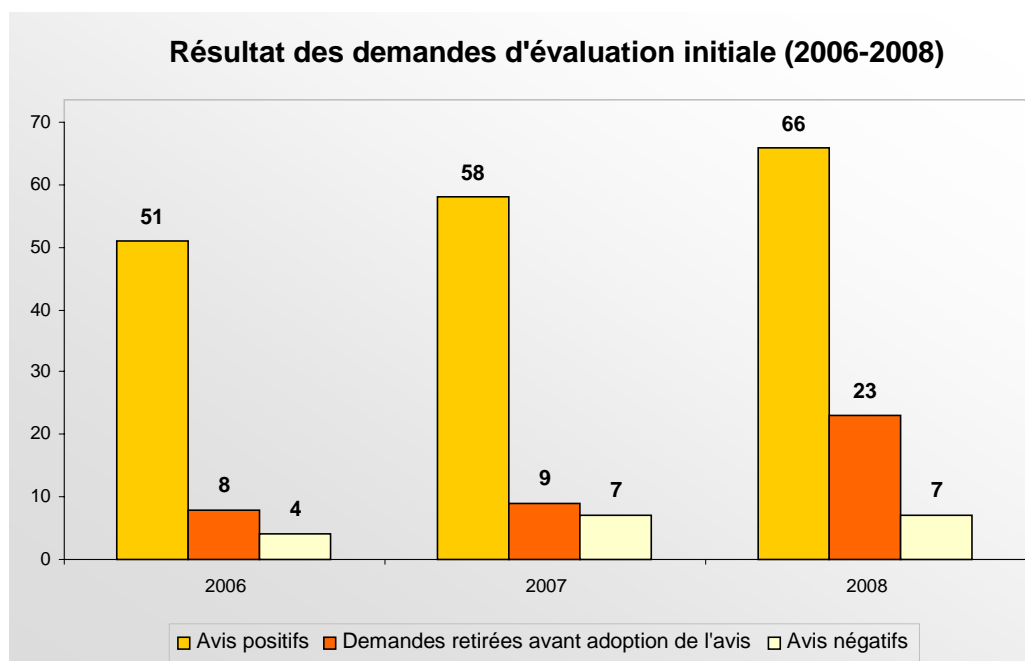
### Évaluation de médicaments à usage humain

#### *Un nombre record d'avis positifs adoptés pour de nouveaux médicaments à usage humain*

En 2008, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a adopté 66 avis positifs<sup>1</sup>, le nombre le plus élevé jamais atteint en une seule année, suite à l'achèvement de ses procédures d'évaluation initiale<sup>2</sup> de nouveaux médicaments à usage humain.

La majorité des avis positifs du CHMP adoptés en 2008 ont concerné des médicaments contre le cancer, suivis par des anti-infectieux et des médicaments pour le traitement de maladies neurologiques et du système nerveux central.

Un avis positif supplémentaire a été adopté en faveur de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle (une autorisation d'un an, renouvelable annuellement, à condition que certaines obligations spécifiques soient respectées), tandis que des avis négatifs ont été adoptés pour 7 demandes. Vingt-trois demandes ont été retirées par les demandeurs avant l'achèvement de la procédure d'évaluation.



<sup>1</sup> Le CHMP adopte des avis après une évaluation rigoureuse des données scientifiques présentées par les sociétés pharmaceutiques à l'appui de leurs demandes d'approbation de leurs médicaments. Il évalue la qualité, la sécurité d'emploi et l'efficacité du médicament concerné et adopte un avis positif s'il s'avère que les données soumises démontrent que les bénéfices du médicament sont supérieurs à tous les risques liés à son utilisation. Un avis du CHMP est une recommandation faite à la Commission Européenne d'octroyer ou de refuser une autorisation de mise sur le marché dans la Communauté, qui permet la commercialisation du médicament concerné dans l'ensemble des 30 pays de l'Espace économique européen (les 27 États membres de l'Union européenne, plus l'Islande, le Liechtenstein et la Norvège).

<sup>2</sup> Les procédures d'évaluation initiale concernent les demandes relatives à de nouveaux médicaments, qui n'ont pas été autorisés dans l'Union européenne auparavant.

## *Bénéfices en matière de santé publique des médicaments recommandés pour l'octroi d'une autorisation en 2008*

Parmi les 66 médicaments ayant reçu un avis positif du CHMP en 2008, ceux qui présentent une importance remarquable sont:

- le premier médicament pour une utilisation en traitement d'entretien chez les adultes atteints de leucémie myéloïde aiguë (un type de cancer des globules blancs), en association avec l'interleukine-2 (un médicament anticancéreux). Il peut être utilisé pendant la première rémission d'un patient (une période sans symptômes de la maladie après la première phase de traitement);
- un médicament pour le traitement de l'ostéosarcome non métastatique de haut grade (un cancer rare des os) chez les enfants, les adolescents et les jeunes adultes. Il peut être utilisé avec d'autres médicaments anticancéreux, après ablation chirurgicale du cancer;
- un médicament pour une utilisation chez les adultes présentant un purpura thrombocytopénique immunologique de longue durée, une maladie rare dans laquelle le système immunitaire du patient détruit les plaquettes sanguines, qui aident le sang à coaguler quand la personne saigne;
- un médicament pour le traitement des adultes qui ne peuvent pas recevoir de greffe de moelle osseuse et souffrent de syndromes myélodysplasiques (maladies dans lesquelles la moelle osseuse produit un nombre trop faible de cellules sanguines);
- un médicament pour le traitement de l'hyperphénylalaninémie (taux élevés de phénylalanine dans le sang) chez les patients présentant le trouble génétique phénylcétonurie ou déficit en tétrahydrobioptérine;
- un nouveau composé d'une classe existante de médicaments antirétroviraux, pouvant être utilisé pour le traitement des adultes infectés par le VIH-1 (le virus responsable du SIDA), chez lesquels le traitement par d'autres médicaments de la même classe a échoué;
- un agent antirhumatismal biologique (antagoniste du récepteur de l'interleukine-6) pouvant être utilisé en association avec le méthotrexate pour le traitement des adultes présentant une polyarthrite rhumatoïde modérée à sévère (une maladie immunitaire provoquant une inflammation des articulations). Il est destiné à une utilisation chez les patients qui ne répondent pas bien aux traitements classiques pour l'arthrite ou qui ne les tolèrent pas;
- le premier vaccin pour les adultes contre l'encéphalite japonaise, une maladie transmise par les moustiques, qui provoque une inflammation du cerveau et qui peut entraîner une infirmité de longue durée ou la mort;
- deux nouveaux vaccins prototypes pouvant être adaptés à une utilisation lors d'une pandémie de grippe. Ces prototypes ne sont pas eux-mêmes destinés à la production, mais peuvent servir à accélérer fortement la procédure d'autorisation des «vrais» vaccins une fois que la souche du virus responsable de la pandémie a été identifié;
- le premier vaccin pré-pandémique pour une utilisation chez les adultes contre le sous-type H5N1 du virus de la grippe A, qui peut provoquer la grippe aviaire chez l'homme;
- deux médicaments utilisés pour la prévention de la formation d'un thromboembolisme veineux (caillots de sang dans les veines), qui peuvent être administrés par voie orale et qui apportent donc une solution alternative au traitement classique par injection.

### *Un nombre de demandes d'évaluation initiale pour des médicaments à usage humain en augmentation de 14%*

Les demandes d'évaluation initiale concernent de nouveaux médicaments qui n'ont pas été autorisés antérieurement sous quelque forme que ce soit dans l'Union européenne.

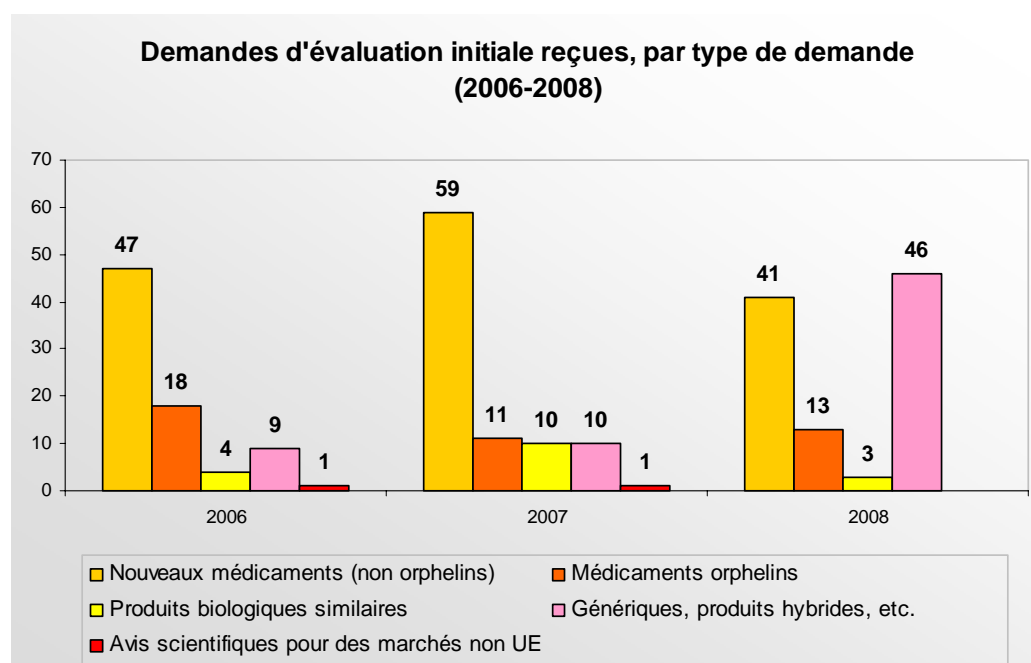
Le nombre de demandes d'évaluation initiale soumises à l'Agence en 2008 pour l'évaluation de nouveaux médicaments à usage humain a été de 103, soit une augmentation de 14% par rapport au nombre de demandes reçues en 2007.

Le CHMP traite ces demandes en 210 jours, comme stipulé dans la législation de l'UE, et adopte dans chaque cas un avis recommandant ou non l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché.

Parmi les 103 demandes reçues en 2008:

- 73 concernaient des médicaments contenant un nouveau principe actif, c'est-à-dire un composé chimique ou biologique qui n'a pas été utilisé précédemment dans un médicament autorisé;
- 13 portaient sur des «médicaments orphelins», c'est-à-dire qui sont destinés à une utilisation pour le diagnostic, la prévention ou le traitement de maladies ou d'états rares gravement débilitants;
- 46 concernaient des médicaments génériques ou hybrides, c'est-à-dire des médicaments dont le principe actif est essentiellement le même que celui d'un médicament autorisé antérieurement;
- 3 portaient sur des «médicaments biologiques similaires», c'est-à-dire des médicaments dont le principe actif est produit ou issu d'un organisme vivant et est similaire à celui d'un médicament autorisé antérieurement.

Les demandes concernant des médicaments destinés au traitement de cancers, de maladies infectieuses, d'affections métaboliques ou de maladies du tube digestif étaient proportionnellement plus nombreuses que celles relatives à des médicaments destinés à tout autre usage thérapeutique.



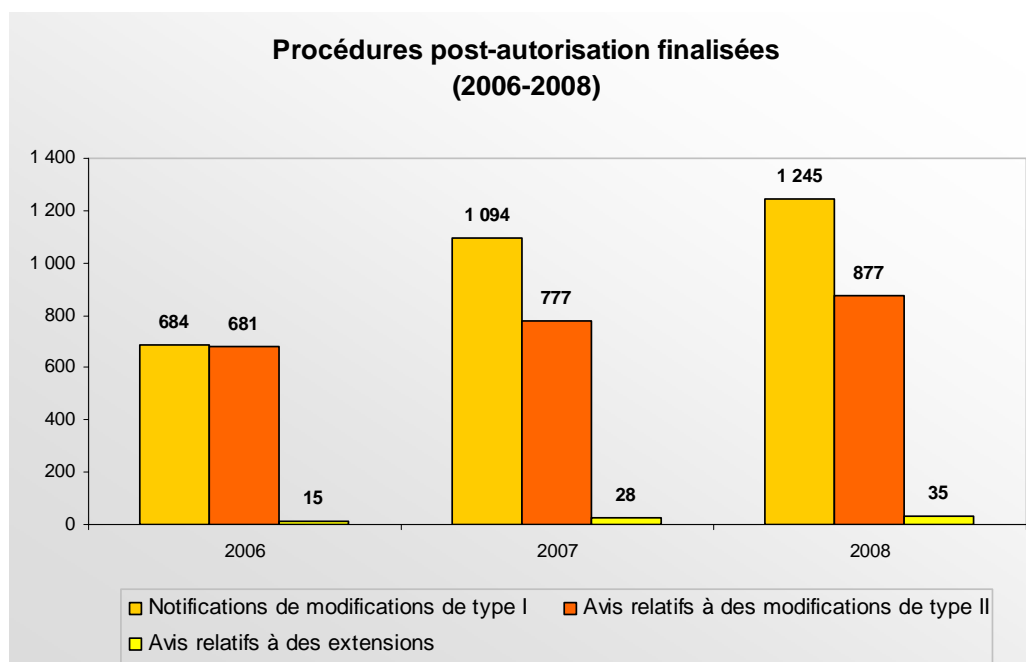
*Un volume de procédures post-autorisation finalisées pour les médicaments à usage humain en augmentation de 13 %*

«Les procédures post-autorisation» concernent le traitement des demandes reçues des titulaires d'autorisations de mise sur le marché qui souhaitent apporter des modifications à leurs médicaments autorisés ou qui y sont obligés (par exemple, pour inclure de nouvelles mises en garde dans les informations de prescription).

Des modifications mineures nécessitent uniquement l'envoi d'une notification à l'Agence pour validation. Pour des modifications majeures, le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché doit généralement soumettre de nouvelles données pour évaluation par le CHMP et adoption d'un avis relatif à l'acceptabilité de la modification proposée.

En 2008, le nombre total de procédures post-autorisation finalisées s'est élevé à 2 157, soit près de 13 % de plus que pour l'année précédente. Parmi celles-ci:

- 31 étaient des procédures pour modification de type II, pour lesquelles le CHMP a émis des avis positifs relatifs à l'extension de l'indication de médicaments autorisés. Cela permettra aux médecins de prescrire ces médicaments aux patients dans un cadre plus large, ce qui représente un bénéfice pour les patients grâce à un élargissement des options de traitement à leur disposition;
- plus de 100 étaient des procédures pour modification de type II, ayant donné lieu à des ajouts de nouvelles informations, notamment des mises en garde ou des précautions pour assurer la sécurité d'emploi, aux informations de prescription de médicaments autorisés, ce qui contribue à réduire les risques d'utilisation erronée ou les effets indésirables liés à l'utilisation de ces médicaments;
- une procédure a donné lieu à la toute première émission d'un avis positif du CHMP pour le changement de classification d'un médicament autorisé, qui est passé de la catégorie «uniquement sur ordonnance» à «disponible sans ordonnance». Il s'agissait d'un médicament anti-obésité.



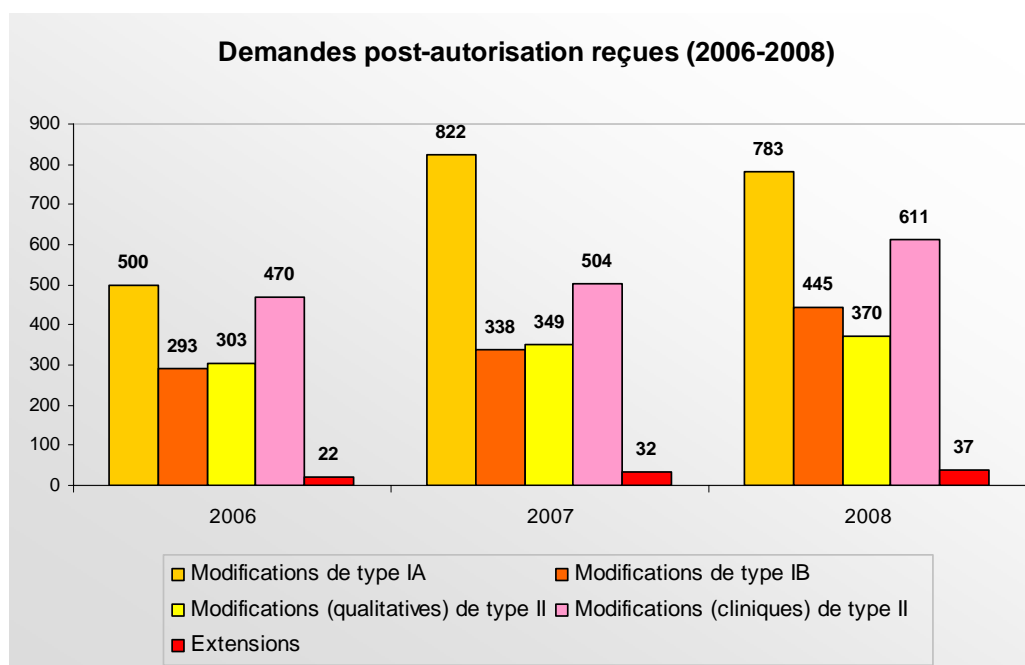
**Explication des catégories post-autorisation:**

- Les modifications de type I concernent des modifications mineures de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament, comme un changement de nom du médicament, un changement de nom et d'adresse du titulaire de l'autorisation de mise sur le marché ou du fabricant, des modifications mineures dans les composants du médicament ou dans leur procédé de fabrication, ou des changements mineurs dans les matériaux d'emballage.

- Les modifications de type II concernent des modifications majeures de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament, comme un changement de l'indication du médicament (le type de maladies ou d'états pour le traitement desquels il peut être utilisé) ou une modification substantielle du conditionnement ou des informations qui accompagnent le médicament.
- Les demandes d'extension concernent des modifications du ou des principe(s) actif(s), du dosage, de la forme pharmaceutique (p. ex. poudre, pommade ou comprimé) ou de la voie d'administration (p. ex. orale, intraveineuse ou sous-cutanée) d'un médicament autorisé.

*Le volume de procédures post-autorisation initiées pour des médicaments à usage humain est en augmentation de 10 %*

2.246 demandes au total concernant des activités post-autorisation relatives à des médicaments à usage humain ont été reçues en 2008, soit une augmentation de 10 % du nombre reçu l'année précédente. Comme pour les années antérieures, la majorité d'entre elles (55 %) concernent la notification à l'Agence, par des titulaires d'autorisation de mise sur le marché, de modifications mineures apportées à leurs médicaments.



### *Supervision du développement de médicaments pour enfants*

Les sociétés prévoyant de soumettre une demande d'autorisation de mise sur le marché pour un médicament qu'elles développent en vue d'une utilisation chez les enfants ou les adolescents doivent d'abord soumettre un plan d'investigation pédiatrique (PIP) présentant les études qu'elles réaliseront pour démontrer la qualité, la sécurité et l'efficacité de leur médicament quand il est utilisé dans ces populations. Sinon, si leur médicament n'est pas destiné à un usage pédiatrique, elles doivent demander une dérogation à l'obligation de soumettre un PIP.

Les titulaires d'autorisations de mise sur le marché pour des médicaments qui sont déjà approuvés pour une utilisation chez les adultes peuvent demander une autorisation de mise sur le marché pour un usage pédiatrique (PUMA, *paediatric-use marketing authorisation*), s'ils souhaitent que leur médicament soit approuvé pour une utilisation chez les enfants ou les adolescents.

Les demandes d'approbation de PIP, les dérogations et les PUMA sont évalués par le comité pédiatrique de l'Agence, qui effectue également des contrôles de conformité pour vérifier si les sociétés

demandant l'autorisation de mise sur le marché ont développé leur médicament conformément à leur PIP approuvé.

En 2008, le comité pédiatrique a:

- reçu 271 demandes de PIP;
- adopté 129 avis positifs et 4 avis négatifs pour des demandes de PIP et 8 avis positifs pour une modification de PIP approuvés;
- adopté 48 avis pour des demandes de dérogation spécifique au produit;
- adopté 35 décisions concernant des dérogations de classe<sup>3</sup>;
- effectué 5 contrôles de conformité dans le cadre du processus de validation de demandes d'autorisations de mise sur le marché;
- émis une recommandation positive concernant une extension de l'utilisation d'un médicament autorisé pour une utilisation chez les adultes à l'utilisation chez les enfants, sur la base des données d'un essai clinique générées conformément à un PIP accepté.

### *Évaluation des demandes de désignation de médicament orphelin*

Les médicaments «orphelins» sont destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement de maladies mettant en jeu le pronostic vital ou qui sont chroniquement débilitantes, qui ne touchent pas plus de cinq personnes sur 10.000 dans l'Union européenne. L'UE offre des incitations financières aux sociétés pharmaceutiques pour développer de tels médicaments, pour que les patients souffrant de maladies rares puissent bénéficier de la même qualité de traitement médical que les autres patients.

Pour être éligible à ces aides, la société doit d'abord soumettre une demande à l'Agence, qui évalue au sein de son comité des médicaments orphelins (COMP) si le médicament doit être désigné ou non médicament orphelin. L'avis du COMP est transmis à la Commission européenne, qui prend la décision finale concernant la désignation de médicament orphelin.

En 2008:

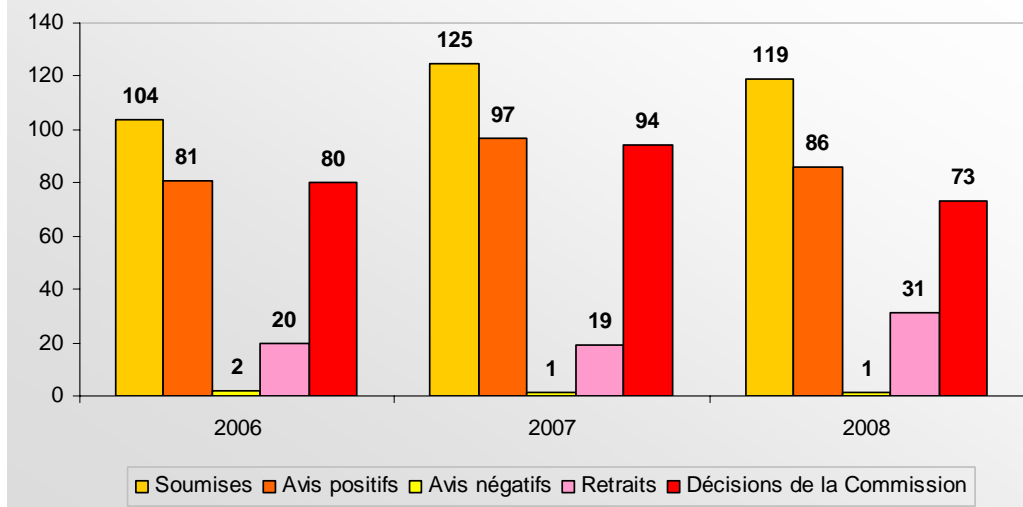
- 119 demandes de désignation de médicament orphelin ont été soumises à l'Agence;
- le COMP a adopté 86 avis positifs et 1 avis négatif;
- un nombre plus élevé de désignations de médicament orphelin ont été accordées pour des médicaments anticancéreux par rapport à tous les autres types de médicaments;
- près des deux tiers des désignations de médicament orphelin ont été attribuées à des médicaments pour le traitement de maladies touchant les enfants.

---

<sup>3</sup> Le comité pédiatrique adopte des décisions concernant certaines classes de médicaments pour lesquelles il n'est pas obligatoire d'établir un PIP, comme les médicaments destinés au traitement de maladies qui ne touchent ni les enfants ni les adolescents (p. ex. la maladie de Parkinson). Les demandeurs sont dispensés de l'obligation de soumettre une demande de dérogation spécifique au produit si le médicament pour lequel ils sollicitent une autorisation de mise sur le marché appartient à l'une de ces classes.



### Procédures de désignation de médicament orphelin (2006-2008)



#### *Établissement d'avis scientifiques pour des médicaments à base de plantes*

Les médicaments à base de plantes (plantes médicinales ou parties de telles plantes ou préparations médicinales en contenant) dans l'Union européenne sont en général autorisés conformément aux procédures nationales des pays individuels.

Le rôle de l'Agence consiste à préparer, au sein de son comité des médicaments à base de plantes (HMPC), les avis scientifiques concernant la qualité, la sécurité et l'efficacité de ces médicaments, afin que les informations réglementaires qui s'y appliquent puissent être harmonisées dans l'ensemble de l'UE.

En 2008, le HMPC a :

- finalisé 17 monographies communautaires de plantes médicinales<sup>4</sup> pour des médicaments à base de plantes traditionnels et bien établis;
- émis pour consultation publique 14 projets de monographies communautaires de plantes médicinales pour des médicaments à base de plantes traditionnels et bien établis;
- adopté 5 inscriptions sur la «liste communautaire des substances végétales, des préparations à base de plantes et d'associations de celles-ci, susceptibles d'être utilisées dans des médicaments traditionnels à base de plantes»<sup>5</sup>. Un projet d'inscription a été publié pour consultation publique.

<sup>4</sup> Une monographie de plante médicinale est un recueil de toutes les informations pertinentes concernant une plante médicinale, notamment sa composition, son utilisation, les précautions d'emploi, etc.

<sup>5</sup> La «liste communautaire ...» est une liste officielle, établie par le HMPC et approuvée par la Commission européenne, de substances végétales et de préparations à base de plantes, qui sont utilisées pour un usage médicinal depuis suffisamment longtemps et qui sont de ce fait considérées comme n'étant pas nocives dans des conditions normales d'utilisation.

## Évaluation de médicaments à usage vétérinaire

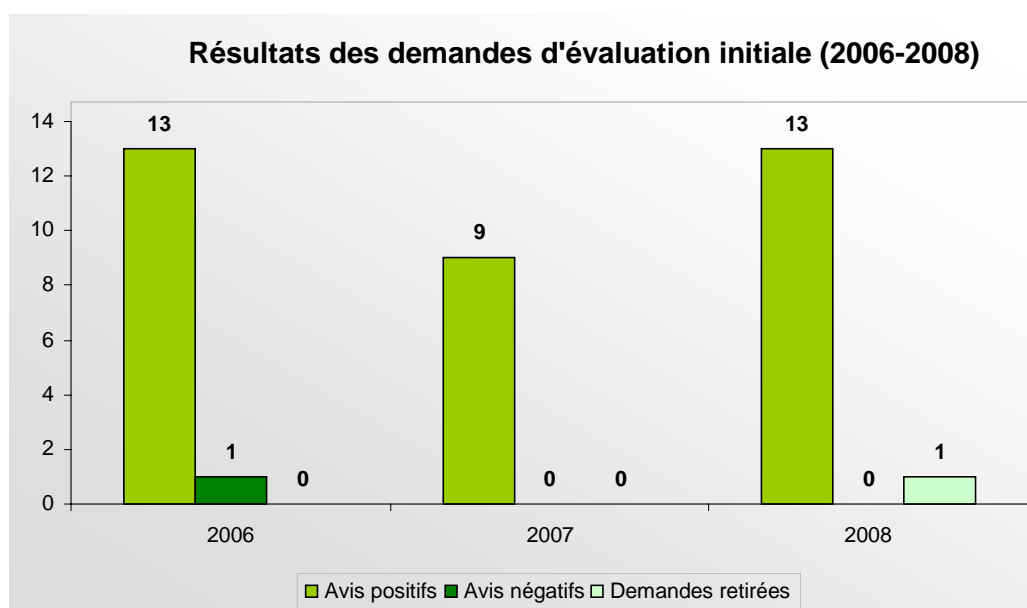
### *Trente avis positifs adoptés pour de nouveaux médicaments vétérinaires*

Le nombre de procédures d'évaluation initiale finalisées par l'Agence concernant des médicaments vétérinaires s'est élevé à 13 en 2008.

L'ensemble des 13 procédures ont donné lieu à l'adoption d'un avis positif par le comité des médicaments à usage vétérinaire (CVMP) de l'Agence. Parmi celles-ci:

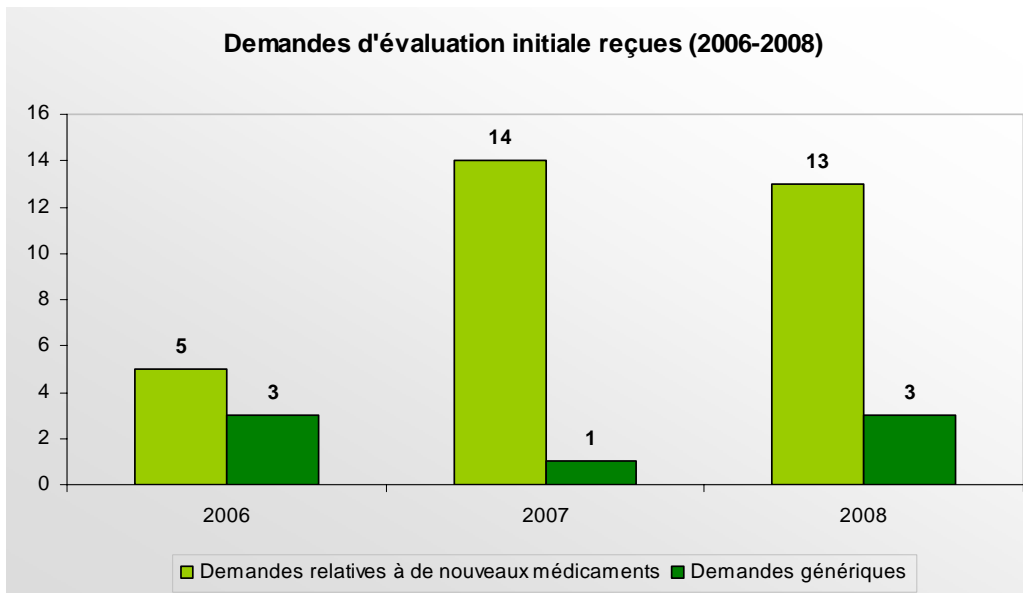
- 7 concernaient des médicaments pour le traitement de différentes affections du chien, notamment les douleurs, des tumeurs et des troubles musculo-squelettiques;
- 1 concernait un anti-douleur destiné aux chiens et aux chats;
- 1 concernait un anti-douleur /anti-inflammatoire destiné aux chevaux;
- 1 concernait un médicament pour le traitement de la maladie respiratoire des bovins;
- 1 concernait un vaccin pour la prévention du virus du Nil occidental chez les chevaux et les poneys;
- 1 concernait un médicament pour lutter contre le circovirus porcin chez les porcs;
- 1 concernait un médicament pour le traitement de la mastite bovine chez les vaches.

Une autre demande a été retirée par le demandeur avant l'achèvement de la procédure d'évaluation.



*Le nombre de demandes d'évaluation initiale reçues pour des médicaments vétérinaires reste stable*

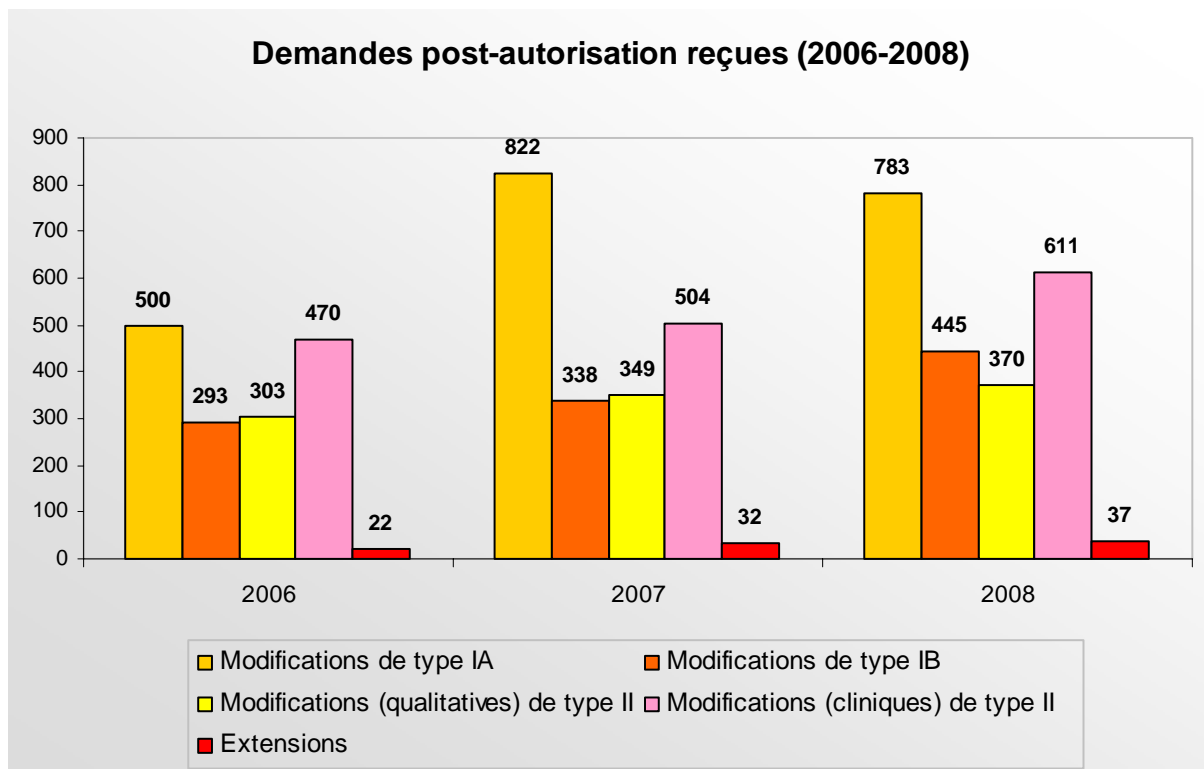
Le volume de demandes reçues par l'Agence en 2008 en vue d'une évaluation initiale de nouveaux médicaments vétérinaires a été, avec 16 demandes, similaire à celui observé en 2007. Trois de ces demandes concernaient des versions génériques de médicaments autorisés antérieurement.



*Le volume de procédures post-autorisation initiées pour des médicaments vétérinaires reste stable*

Au total, 104 demandes pour une évaluation post-autorisation de médicaments vétérinaires ont été reçues en 2008, soit juste un peu moins que les 109 reçues en 2007.

À peu près la moitié de ces demandes concernaient des modifications de type I (modifications mineures) et la moitié des modifications de type II (modifications majeures). Quatre étaient des demandes d'extension.

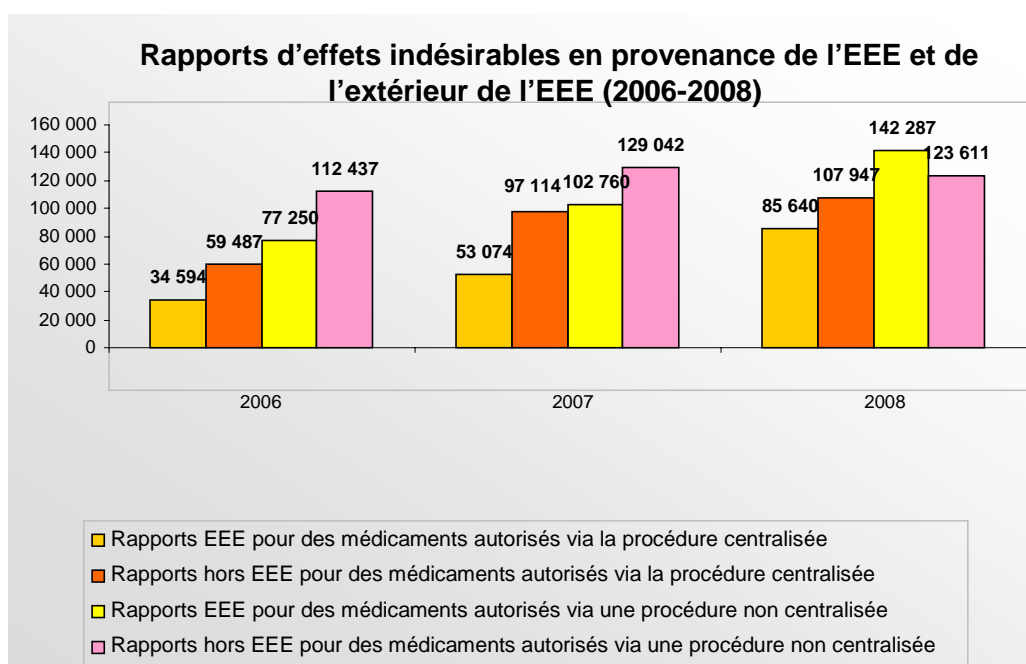


## Surveillance de la sécurité des médicaments

### *Rapports transmis à la base de données EudraVigilance*

En 2008, 459 485 rapports d'effets indésirables associés à l'utilisation de médicaments chez l'homme ont été enregistrés dans la base de données EudraVigilance. Ces notifications couvrent toutes les réactions indésirables (effets indésirables) qui ont été observées, que ce soit au sein de l'Espace économique européen (EEE)<sup>6</sup> ou ailleurs dans le monde et concernent tous les médicaments autorisés par des procédures centralisées<sup>7</sup> et non centralisées (les deux catégories sont indiquées dans le diagramme ci-dessous).

Le système de transmission de rapports à EudraVigilance, qui est géré par l'Agence européenne des médicaments, permet une surveillance constante de la sécurité d'emploi des médicaments autorisés, de façon à ce que des mesures réglementaires appropriées, comme la suspension de l'autorisation de mise sur le marché, puissent être prises rapidement chaque fois qu'il existe un risque pour la santé publique.



### *Rapports transmis à la base de données EudraVigilance vétérinaire*

Il existe un système équivalent, appelé EudraVigilance vétérinaire, pour recevoir les rapports concernant les effets indésirables survenant à la suite de l'utilisation de médicaments vétérinaires autorisés.

1 943 rapports au total d'effets indésirables observés chez les animaux ont été enregistrés dans la base de données EudraVigilance vétérinaire en 2008, dont 1 712 concernaient des effets indésirables chez des animaux de compagnie (971 chez des chiens et 704 chez des chats) et 231 chez des animaux producteurs d'aliments (vaches, porcs, etc.). 308 autres rapports concernaient des effets secondaires survenus chez l'homme, à la suite d'une exposition à des médicaments vétérinaires.

<sup>6</sup> L'Espace économique européen comprend les 27 États membres de l'Union européenne, plus l'Islande, le Liechtenstein et la Norvège.

<sup>7</sup> Les médicaments autorisés par une procédure centralisée sont ceux qui ont été approuvés simultanément dans tous les pays de l'EEE, via des procédures effectuées par l'Agence européenne des médicaments, tandis que les médicaments autorisés par des procédures non centralisées ont été approuvés séparément par un ou plusieurs pays de l'EEE.

### *Examen des rapports périodiques de mise à jour des données de sécurité pour les médicaments à usage humain et vétérinaire*

Outre la surveillance des rapports d'effets indésirables, l'Agence examine les rapports périodiques de mise à jour des données de sécurité que les titulaires d'autorisations de mise sur le marché sont obligés de soumettre pour leurs médicaments autorisés via la procédure centralisée. Ces rapports rassemblent toutes les données de sécurité connues relatives à l'utilisation du médicament concerné, notamment les informations qui deviennent disponibles à partir d'études complémentaires menées après que le médicament a été autorisé.

En 2008, l'Agence a examiné 391 de ces rapports concernant des médicaments à usage humain et 91 concernant des médicaments vétérinaires.

### *Mise en œuvre de la stratégie européenne de gestion des risques*

La stratégie européenne de gestion des risques est une stratégie développée par l'Agence et ses partenaires du réseau européen de réglementation des médicaments. Elle vise à mettre en place des mesures permettant une détection, une évaluation, une minimisation et une communication précoces des risques liés aux médicaments tout au long de leur cycle de vie.

La principale initiative prise en 2008 dans le cadre de cette stratégie a été l'introduction d'un système de notification précoce pour une amélioration des communications entre les autorités réglementaires européennes et avec l'administration américaine des denrées alimentaires et des médicaments (FDA, *Food and Drug Administration*) sur la mesure réglementaire qu'il est envisagé de prendre en réponse à des problèmes de sécurité (émergents). Ce système permet à l'Agence et à ses partenaires d'adopter une approche plus proactive et cohérente pour communiquer sur les problèmes de sécurité au sein du réseau.

## Soutien à l'innovation et disponibilité des médicaments

### *Soutien aux PME*

Les petites et moyennes entreprises (PME) opérant dans les secteurs des produits pharmaceutiques à usage humain et vétérinaire sont souvent innovatrices en termes de nouvelles technologies et de thérapies émergentes. En reconnaissance de ce fait, des dispositions particulières ont été prévues dans la législation européenne pour offrir des incitants financiers à ces sociétés, notamment la réduction ou le report des redevances dues à l'Agence pour les procédures réglementaires telles que les demandes d'autorisations de mise sur le marché ou, pour les médicaments vétérinaires, la fixation des limites maximales de résidus<sup>8</sup>.

Un service dédié aux PME créé au sein de l'Agence apporte un soutien aux PME sur ces questions ainsi que sur d'autres qui y sont liées, pour les aider à maximiser les bénéfices dont ils disposent, et contribue ainsi à stimuler l'innovation par de nouveaux médicaments et à améliorer leur disponibilité pour les patients.

En 2008, le service des PME:

- a publié une version revue et mise à jour de son guide de l'utilisateur pour les PME sur le site Internet de l'Agence;
- a poursuivi ses travaux d'identification des besoins spécifiques en conseils liés aux thérapies innovantes;
- a examiné et approuvé 84 demandes de PME de réduction ou de report des redevances;
- a traité 337 demandes de qualification ou de renouvellement du statut de PME;
- a reçu 85 demandes d'aide administrative.

### *Fourniture de conseil scientifique pour soutenir le développement de médicaments*

L'Agence contribue à l'accélération de la mise à disposition des médicaments en fournissant des conseils scientifiques aux sociétés.

À tout stade du développement d'un médicament, une société peut solliciter un avis scientifique sur la meilleure façon de réaliser les différents essais et études nécessaires pour démontrer la qualité, la sécurité et l'efficacité de son produit et améliorer ainsi ses probabilités d'obtenir une autorisation de mise sur le marché pour ce dernier.

Une forme spéciale d'avis scientifique, appelée assistance à l'élaboration de protocoles, peut être fournie pour aider les développeurs de médicaments ayant reçu la désignation de médicament orphelin à démontrer que leur médicament apporte un bénéfice significatif par rapport à d'autres traitements disponibles, ce qui est une condition nécessaire pour obtenir l'autorisation de mise sur le marché pour un médicament orphelin.

En 2008, l'Agence, par l'intermédiaire de ses comités scientifiques et groupes de travail concernés:

- a finalisé un nombre record de 328 demandes d'avis scientifique et d'assistance à l'élaboration de protocoles pour des médicaments à usage humain (14 % de plus que le nombre de demandes finalisées en 2007);
- a reçu 320 demandes nouvelles ou de suivi d'avis scientifiques ou une assistance à l'élaboration de protocoles pour des médicaments à usage humain;
- a reçu 5 demandes d'avis scientifique pour des médicaments vétérinaires.

---

<sup>8</sup> Limite maximale de résidus: concentration maximale acceptable de résidu d'un médicament dans un produit alimentaire issu d'un animal traité.

### *Préparation de la mise en place du comité des thérapies innovantes*

L'Agence a consacré un effort considérable en 2008 à la création de son sixième comité scientifique, le comité des thérapies innovantes (CAT, *Committee for Advanced Therapies*) et à la mise en place de toutes les procédures et du personnel nécessaires, avant la réunion inaugurale du comité en janvier 2009.

La création du CAT a été stipulée dans le règlement concernant les médicaments de thérapie innovante<sup>9</sup>, un nouveau texte réglementaire important, qui introduit des procédures spéciales pour l'évaluation et l'autorisation de «médicaments de thérapie innovante», des médicaments issus de la thérapie génique, de la thérapie cellulaire somatique ou de l'ingénierie tissulaire, qui offrent des options de traitement révolutionnaires pour les patients.

## **Renforcer la coopération avec les partenaires européens et internationaux**

### *Renforcement du réseau européen des médicaments*

Le réseau européen des médicaments est un partenariat de plus de 40 autorités réglementaires nationales réparties dans tout l'Espace économique européen. Collectivement, ces organisations partenaires fournissent les meilleures compétences scientifiques disponibles pour assurer un système de régulation sûr des médicaments en Europe. C'est au sein de ce réseau que l'Agence trouve la plupart des experts qui deviennent membres de ses comités scientifiques, groupes de travail et groupes associés.

Dans le cadre de ses efforts en cours visant à renforcer l'efficacité du réseau, l'Agence s'est concentrée en 2008 sur:

- l'amélioration de la planification des ressources, notamment en fournissant des estimations régulières des ressources nécessaires pour les demandes de procédures réglementaires à venir;
- l'amélioration de l'organisation des réunions à l'Agence, en particulier en augmentant la disponibilité d'installations de vidéo et de téléconférence, réduisant ainsi les besoins de déplacements des experts pour se rendre dans les locaux de l'Agence;
- l'amélioration du développement des compétences, notamment en fournissant une série de sessions de formation pour les experts et les évaluateurs sur toute une variété de sujets spécialisés.

### *Renforcement de la coopération avec les partenaires internationaux*

Les régulateurs des médicaments du monde entier ont en commun le même objectif d'élaboration de procédures appropriées pour le développement, les tests, l'autorisation et la surveillance des médicaments, dans le but de protéger les populations qu'ils représentent. Ce faisant, ils sont également confrontés à des défis très similaires et en mettant en commun leurs expériences, en partageant des informations, en échangeant leurs compétences et en harmonisant leurs pratiques de régulation, ils augmentent leurs probabilités de surmonter ces défis.

L'Agence participe à un programme annuel intensif d'activités aux côtés de ses partenaires régulateurs et scientifiques dans toute l'Europe et avec leurs homologues sur d'autres continents, pour contribuer à ces efforts mondiaux en vue de l'obtention de médicaments meilleurs et plus sûrs.

En 2008, les principales activités de coopération avec les partenaires internationaux ont été:

- la participation à une série de projets menés par l'Organisation mondiale de la santé, notamment au programme «Pour des médicaments au format enfant», visant à répondre au besoin d'une meilleure disponibilité de médicaments sûrs pour les enfants;
- un programme d'activités en cours destiné à aider les autorités réglementaires de la Croatie, de la Turquie et de l'Ancienne République yougoslave de Macédoine à préparer leur intégration dans le réseau européen des médicaments après l'adhésion éventuelle de ces pays à l'UE;

---

<sup>9</sup> [Règlement \(CE\) n° 1394/2007 concernant les médicaments de thérapie innovante](#)

- d'autres participations à une série d'activités avec des partenaires de la Conférence tripartite internationale (ICH) sur l'harmonisation (UE - États-Unis - Japon) et son équivalent vétérinaire VICH);
- une série d'échanges d'informations avec les autorités des médicaments des États-Unis, du Canada et du Japon, dans le cadre d'accords de confidentialité conclus entre l'UE et ces pays;
- la nomination d'un agent international de liaison pour surveiller le développement futur des activités de l'Agence avec ses partenaires internationaux.

### **Interaction avec les patients, les consommateurs et les professionnels de la santé**

Les professionnels de la santé, les patients et autres consommateurs de médicaments sont les principales parties intéressées par les travaux de l'Agence car, outre le fait qu'ils sont les utilisateurs finals primaires des médicaments et informations sur les médicaments relevant de la responsabilité de l'Agence, ils possèdent des connaissances et des compétences spécifiques à offrir en retour à l'Agence.

L'Agence s'est engagée à rester en étroite relation de travail avec ces parties intéressées importantes et a créé plusieurs mécanismes pour les faire participer à un certain nombre de ses activités, notamment:

- la participation à des réunions du groupe de travail «Patients et consommateurs» ou du groupe de travail «Professionnels de la santé»;
- le contrôle de la qualité des informations sur les médicaments autorisés;
- l'aide à la préparation des documents d'orientation réglementaire et procédurale;
- la formulation de recommandations à l'Agence et à ses comités scientifiques sur tous les sujets qui présentent un intérêt direct ou indirect pour elles.

#### *Amélioration des opportunités d'interaction*

Les efforts déployés en 2008 pour améliorer la participation des professionnels de la santé, des patients et des consommateurs aux activités de l'Agence ont concerné:

- l'extension du champ d'application de la participation des patients et des consommateurs à l'examen de la qualité des notices (les informations contenues dans l'emballage d'un médicament);
- le travail avec des patients et des consommateurs pour déterminer, par une enquête, leur niveau de satisfaction en ce qui concerne leur participation actuelle aux activités de l'Agence;
- l'intégration des contributions reçues des professionnels de la santé, des patients et des consommateurs dans le développement de la stratégie de communication de l'Agence.



## Favoriser la transparence, la communication et la fourniture d'informations

### *Fournir un accès plus large aux informations de l'Agence*

Les activités menées en 2008 visant à améliorer la transparence des documents et des données gérées par l'Agence ont concerné:

- la discussion au sein du conseil d'administration de l'Agence sur la publication de ses documents. Il a été convenu qu'à partir de mars 2009, les documents non confidentiels du conseil, notamment les ordres du jour et les procès-verbaux, seront publiés sur le site Internet de l'Agence<sup>10</sup> après chaque réunion du conseil;
- la préparation et la publication pour consultation d'une politique d'accès aux documents, prévoyant la possibilité pour le public de demander l'accès à tout document produit ou reçu et détenu par l'Agence;
- la préparation et la publication pour consultation d'une politique relative aux niveaux appropriés d'accès pour les autorités réglementaires, les professionnels de la santé, les patients, l'industrie pharmaceutique et le grand public aux informations contenues dans le système EudraVigilance, la base de données de l'UE des effets indésirables des médicaments;
- la préparation de l'octroi futur d'un accès à certaines données contenues dans le système EudraCT, la base de données de l'UE des informations sur les essais cliniques, et la préparation d'un plan de mise en œuvre pour l'adaptation de systèmes de technologie de l'information en vue de permettre un tel accès.

### *Amélioration des communications par l'intermédiaire du site Internet de l'Agence*

Un projet «d'informations en ligne accessibles au public» a été lancé en 2008 pour initier une refonte totale du site Internet public de l'Agence. Ce processus vise à améliorer grandement la présentation et la fonctionnalité du site Internet, ainsi que la qualité du contenu accessible sur le site.

Ce projet inclura la consultation des principaux publics de l'Agence, notamment des patients, des professionnels de la santé, des autorités réglementaires et des sociétés pharmaceutiques, et l'ouverture du nouveau site Internet est prévue pour la fin de 2009.

En attendant, des améliorations constantes des communications de l'Agence par l'Internet seront apportées tout au long de l'année, notamment:

- le lancement du site ENCePP<sup>11</sup> (*European Network of Centers for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance*), dédié aux activités du réseau européen des centres de pharmacoépidémiologie et de pharmacovigilance nouvellement créé, qui est coordonné par l'Agence;
- la création d'une nouvelle section «Lignes directrices réglementaires et procédurales»<sup>12</sup> du site Internet public de l'Agence, destinée à fournir un accès pratique aux principaux documents d'orientation réglementaire et procédurale pertinents pour la mise en œuvre de la procédure d'autorisation centralisée;
- la création de la section «Médicaments pour les personnes âgées» du site Internet public de l'Agence<sup>13</sup>, destinée à fournir des informations sur les travaux que l'Agence mène avec ses partenaires pour développer des normes harmonisées pour le développement, les tests, l'approbation et l'utilisation de médicaments pour les personnes âgées.

---

<sup>10</sup> Documents du conseil d'administration:

[http://www.emea.europa.eu/htms/general/manage/MB/MB\\_documents.html](http://www.emea.europa.eu/htms/general/manage/MB/MB_documents.html)

<sup>11</sup> Site Internet ENCePP: <http://www.encepp.eu>

<sup>12</sup> «Orientation réglementaire et procédurale»: <http://www.emea.europa.eu/htms/human/raguidelines/intro.htm>

<sup>13</sup> «Médicaments pour les personnes âgées»: <http://www.emea.europa.eu/htms/human/elderly/introduction.htm>

## Les recettes et effectifs en chiffres

### Augmentation des recettes de 10,7 %

Les recettes totales de l'Agence en 2008 se sont élevées à 182 895 000 euros, en augmentation d'un peu plus de 10 % par rapport à 2007.

Le tableau ci-dessous présente la ventilation des recettes de l'Agence pour 2007 et 2008, ainsi que les prévisions pour 2009.

	2007		2008		2009 (prévisions)	
	milliers €	%	milliers €	%	milliers €	%
<b>Recettes</b>						
Redevances	111.753	67,61	126.318	69,07	138.966	73,65
Contribution générale de l'UE	39.750	24,05	39.997	21,87	36.390	19,29
Contribution spéciale de l'UE au titre des médicaments orphelins	4.892	2,96	6.000	3,28	5.500	2,91
Contribution de l'EEE	789	0,48	956	0,52	888	0,47
Programmes communautaires	583	0,35	600	0,33	300	0,16
Autres	7.522	4,55	9.024	4,93	6.645	3,52
<b>TOTAL DES RECETTES</b>	<b>165.289</b>	<b>100,00</b>	<b>182.895</b>	<b>100,00</b>	<b>188.689</b>	<b>100,00</b>

### Une augmentation des effectifs de 14 %

Le nombre total de personnes employées par l'Agence à la fin 2008, incluant le personnel permanent et les agents contractuels, les experts invités, les intérimaires et les stagiaires, était de 624, soit environ 14 % de plus que les 547 employés en 2007.

