

Regolamento europeo per le terapie avanzate e norma di transizione

Cristina Pintus

Dirigente Ufficio Rapporti con l'EMA e con le altre Agenzie dell'UE

*Advanced Therapies, Tissue Engineering, Cellule Staminali
e Produzione in GMP: Aspetti e Problematiche*

Bologna 19 dicembre 2006

Regolamento europeo per le terapie avanzate

Prodotti sangue
2002/98/CE

Dispositivi medici
93/42/CEE
90/385/CEE

Cellule e tessuti
2004/23/CE

Prodotti medicinali
2001/83/CE

Medicinali per
terapie avanzate
(modifica 2001/83 e
Regolamento 726/2004)

GMP
2003/94/CE

2003/63/CE

Studi clinici
2001/20/CE

Regolamento europeo per le terapie avanzate

- 2001: Prime discussioni
- 2002: 1^a consultazione pubblica
- 2003: Conferenza con i 25 SM europei
- 2004: 2^a consultazione pubblica e conferenza con i 25 SM
- 2005: 3^a consultazione pubblica e con il Comitato Farmaceutico
- 2005: Proposta adottata dalla Commissione
Vedi "COM(2005) 567 definitivo del 16.11.2005"
- 2006: Relazione sulla proposta emendata dagli SM rifiutata dal Comitato del Parlamento
- 2007: Opinioni del Consiglio e del Parlamento

Oggetto del Regolamento

Prodotti destinati al commercio negli Stati Membri e preparati industrialmente o mediante metodi di tipo industriale

Esenzione dal Regolamento (articolo 28)

Qualsiasi prodotto medicinale di terapia avanzata che sia preparato ed utilizzato in un ospedale, secondo una prescrizione medica per un singolo paziente

Regolamento europeo per le terapie avanzate

- 8 Capitoli
 1. Oggetto e definizioni
 2. Prescrizioni per l'AIC
 3. Procedura per l'AIC
 4. RCP, etichettatura, foglietto illustrativo
 5. Prescrizione post-AIC
 6. Incentivi
 7. Comitato per Terapie Avanzate
 8. Disposizioni generali e finali
- 30 Articoli
- 4 Allegati
- 130 note in calce (emendamenti)

Definizioni

Medicinale per terapia avanzata

- Medicinali di terapia genica
- Medicinali di terapia cellulare somatica
- Prodotti di ingegneria tissutale

Definizioni

Prodotti di ingegneria tissutale

- Contiene o consiste in cellule o tessuti prodotti dall'ingegneria tissutale o cellulare e
- È presentato come avente proprietà atte a ristabilire, correggere o modificare un tessuto umano oppure viene utilizzato o somministrato ad esseri umani a tal fine
- Può contenere cellule o tessuti di origine umana o animale o entrambi
- Le cellule o tessuti possono essere vitali o non vitali
- Possono contenere sostanze aggiuntive come prodotti cellulari, biomolecole, biomateriali, sostanze chimiche, supporti o matrici

Definizioni

Cellule o tessuti sono considerati “ingegnerizzati” se soddisfano almeno uno dei seguenti punti:

- Manipolazione sostanziale tale da alterare le caratteristiche biologiche originali, le funzioni fisiologiche o le proprietà strutturali rilevanti per la rigenerazione, la riparazione o la sostituzione volute; o se non sono disponibili informazioni sull'effetto delle manipolazioni
- Le cellule o tessuti sono parte di un prodotto medicinale combinato di terapia avanzata

Definizioni

Prodotto medicinale combinato di terapia avanzata:

- Deve incorporare come parte integrale del prodotto uno o più dispositivi medici
- La sua parte cellulare o tessutale deve essere capace di agire sul corpo umano con un modo che non può considerarsi ancillare a quello del dispositivo medico corrispondente

Principali punti contestati

- Etici
 - Utilizzo cellule embrionali
 - Utilizzo chimere e ibridi
 - Linee germinali
- Scientifici
 - Definizioni
 - Distinzione dagli altri prodotti
- Regolatori
 - AIC nazionale vs. centralizzata
 - Esenzione per ospedali
 - Composizione del CAT

Registrazione

- D. L.vo 24 aprile 2006, n. 219
(2001/83/CE e 2003/94/CE)
- Decreto 24 settembre 2004, all. 1 parte IV
(2003/63/CE)

Medicinali per Terapie avanzate (umani e xenogenici)

- ✓ Genica
- ✓ Cellulare somatica

Definizioni (1)

- Cellule manipolate per modificarne le proprietà immunologiche, metaboliche o altre di tipo funzionale sotto l'aspetto qualitativo o quantitativo
- Cellule separate, selezionate, manipolate e successivamente sottoposte a processo di lavorazione per ottenere il medicinale finito
- Cellule manipolate e associate a componenti non cellulari (ad es. matrici biologiche o inerti o dispositivi medici) che esercitano l'azione essenziale prevista nel prodotto finito

Definizioni (2)

- Derivati di cellule autologhe espressi in vitro in specifiche condizioni di coltura
- Cellule geneticamente modificate o altrimenti manipolate per esprimere proprietà funzionali omologhe o non omologhe precedentemente non espresse

Sperimentazione

- DM 2 marzo 2004
(Banca dati per terapia cellulare somatica)
- DLgs 24 giugno 2003, n. 211
(2001/20/CE)
- DPR 21 settembre 2001, n. 439
- DM 15.7.97
(Good Clinical Practice CPMP/ICH/135/1995)

Uso consolidato

Decreto in fase di finalizzazione

- Impieghi clinicamente e scientificamente consolidati (cornea, condrociti, pelle)
- Trattamenti compassionevoli
- Requisiti per la produzione in laboratori pubblici

Uso consolidato

Decreto in fase di finalizzazione

Requisiti per la produzione in laboratori pubblici

- Direttore con almeno due anni di esperienza specifica
- Autorizzazione regionale all'esercizio del laboratorio
- Produzione:
 - non a scopi di lucro
 - in linea con i requisiti di qualità approvati dall'ISS
 - attiva da almeno due anni