

Autorisation spéciale pour un «Parallel Trial Programme» (programme d'essais parallèles)

Autorisation d'utiliser une préparation non autorisée dans le cadre d'un programme d'essais parallèles

1 Généralités

La nouvelle loi sur les produits thérapeutiques du 15 décembre 2000 (LPT¹), entrée en vigueur le 1^{er} janvier 2002, vise à garantir la mise sur le marché de produits thérapeutiques de qualité, sûrs et efficaces, en vue de protéger la santé de l'être humain et des animaux (art. 1). Le 2^e alinéa de l'article premier précise même que la LPT vise à contribuer à ce que les produits thérapeutiques mis sur le marché soient utilisés conformément à leur destination et avec modération. En outre, l'article 9 stipule notamment que les médicaments prêts à l'emploi doivent avoir été autorisés par Swissmedic pour pouvoir être mis sur le marché mais prévoit quelques exceptions, telles qu'une formule magistrale, une formule officinale ou un médicament préparé d'après une formule propre à l'établissement. Enfin, selon l'article 26 de la LPT, les règles reconnues des sciences pharmaceutiques et médicales doivent être respectées lors de la prescription et de la remise des médicaments.

Il s'ensuit que seuls des médicaments dont la sécurité, l'efficacité et la qualité ont été vérifiées par les autorités compétentes peuvent être mis sur le marché et que les mêmes règles strictes seront observées pour les médicaments non encore autorisés. C'est pourquoi toute utilisation d'un médicament non autorisé par Swissmedic requiert une autorisation spéciale de celui-ci.

2 Objet de l'aide-mémoire

La présente notice donne les raisons pour lesquelles l'utilisation d'une préparation non autorisée dans le cadre d'un programme d'essais parallèles est liée à une autorisation de Swissmedic et indique les conditions à remplir pour obtenir cette autorisation.

3 Objet de l'autorisation

L'autorisation s'applique à une préparation qui n'est pas (encore) autorisée en Suisse mais qui est déjà utilisée dans le cadre d'essais cliniques notifiés. Elle porte sur l'administration d'une préparation au stade d'essais cliniques à des patients qui, pour une raison quelconque, n'ont pas été intégrés à l'étude correspondante. Cette préparation est donc administrée aux patients parallèlement aux d'essais cliniques.

On attend un grand bénéfice thérapeutique de cette préparation. Comme il n'existe pas de médicaments comparable, l'utilisation de la préparation est possible chez des patients souffrant d'une maladie très invalidante, voire mortelle.

La LPT et les ordonnances y afférentes prévoient pour un tel usage que Swissmedic délivre une autorisation spéciale.

L'article 95 de la LPT stipule à l'alinéa 5 que les autorisations délivrées par la Confédération et par les cantons conformément à l'ancien droit sont valables jusqu'à l'expiration de la durée de leur validité ou pendant cinq ans au plus à compter de la date de l'entrée en vigueur de la loi.

¹ RS 812.21

4 Personne habilitée à déposer une demande

Le médecin-investigateur dirigeant les essais cliniques sur le médicament en question ou le médecin traitant le patient concerné.

5 Conditions-cadre posées pour l'utilisation de la préparation

- Le patient souffre d'une maladie grave, invalidante, voire mortelle.
- Pour traiter la maladie dont souffre le patient, il manque en Suisse une thérapie satisfaisante (il n'existe pas de préparation autorisée pour la même indication) ou bien le rapport bénéfice/risque d'un médicament autorisé est moins bon ou encore une thérapie a déjà été suivie, sans le succès attendu.
- Il s'agit en premier lieu d'une intervention d'urgence ou d'une intervention se présentant comme la dernière solution thérapeutique possible.
- Le médicament a été autorisé dans un autre pays par des autorités reconnues ou fait actuellement l'objet d'une procédure d'autorisation. Si tel n'est pas le cas, il faut attester que les essais cliniques ont abouti à des résultats scientifiques fondés et détenir une information approfondie sur le produit de la part du fabricant (documentation sur l'efficacité et la sécurité ainsi que sur la qualité de la préparation). Ces documents doivent accompagner la demande ou du moins être cités comme référence.
- L'utilisation vise un seul patient, dont le nom est connu.
- Il est nécessaire que la commission d'éthique appropriée expertise et approuve le médicament (en général, la commission d'éthique locale qui a donné son accord aux essais cliniques). Le commanditaire de l'étude doit préparer à cet effet une documentation séparée (calendrier des analyses simplifié, documents sur le médicament) à l'intention de la commission d'éthique.
- L'autorisation est délivrée à un seul médecin traitant, qui doit disposer des informations spécifiques du médicament administré. Il doit motiver l'utilisation du médicament, en répondant à la question «Pourquoi ne pas utiliser ici une préparation enregistrée?» et veiller à documenter et à conserver avec soin les données de chaque patient, assumant la responsabilité de la protection des données. Le médecin traitant rédigera un rapport synthétique à l'issue de la thérapie.
- L'obligation d'annoncer les effets indésirables et les incidents, telle que prévue à l'article 59 de la LPT, s'applique également pour l'utilisation d'une préparation sur la base d'une autorisation spéciale.
- Le patient est informé de l'utilisation faite sur lui du médicament et doit donner son consentement par écrit.
- La couverture d'assurance doit être garantie par l'assurance de responsabilité civile privée du médecin traitant.
- Swissmedic est habilité à poser des conditions supplémentaires ou à exiger un complément d'information.

6 Formulaire

La demande doit être déposée au moyen du formulaire approprié.

7 Adresse de référence

Pour toute question ou autre renseignement, il convient de s'adresser à M. Kenzelmann, de la division Essais cliniques de Swissmedic, au 031 322 03 87; n° de fax 031 324 04 60; adresse électronique: robert.kenzelmann@swissmedic.ch.

8 Bases juridiques

Art. 1 LPT^h

Art. 1: But

¹ La présente loi, en vue de protéger la santé de l'être humain et des animaux, vise à garantir la mise sur le marché de produits thérapeutiques de qualité, sûrs et efficaces.

² Elle vise en outre:

- a. à protéger les consommateurs de produits thérapeutiques contre la tromperie;
- b. à contribuer à ce que les produits thérapeutiques mis sur le marché soient utilisés conformément à leur destination et avec modération;
- c. à contribuer à ce que l'approvisionnement en produits thérapeutiques, y compris l'information et le conseil spécialisés nécessaires, soit sûr et ordonné dans tout le pays.

³

Art. 9 LPT^h

Art. 9: Autorisation de mise sur le marché

¹ Les médicaments prêts à l'emploi et les médicaments à usage vétérinaire destinés à la fabrication d'aliments médicamenteux (prémélanges pour aliments médicamenteux) doivent avoir été autorisés par l'institut pour pouvoir être mis sur le marché. Les accords internationaux sur la reconnaissance des autorisations de mise sur le marché sont réservés.

² Sont dispensés de l'autorisation:

- a. les médicaments qui sont préparés sur ordonnance médicale par une officine publique ou une pharmacie d'hôpital ou, sur mandat de celles-ci, par un autre établissement titulaire d'une autorisation de fabrication, et qui sont destinés à une personne ou à un cercle de personnes déterminés ou à un animal ou à un cheptel déterminé (formule magistrale);
- b. les médicaments qui sont préparés en petites quantités par une officine publique, par une pharmacie d'hôpital, par une droguerie ou par un autre établissement titulaire d'une autorisation de fabrication, conformément à une monographie spéciale de la Pharmacopée ou encore d'une autre pharmacopée ou d'un formularium reconnu par l'institut, et qui sont destinés à être remis aux clients de l'établissement (formule officinale);
- c. les médicaments qui sont préparés en petites quantités par une officine publique, par une pharmacie d'hôpital, par une droguerie ou par un autre établissement titulaire d'une autorisation de fabrication, d'après une formule propre à l'établissement, dans les limites du droit de remise de la personne responsable de la fabrication (art. 25), et qui sont destinés à être remis aux clients de l'établissement; le détenteur de la formule peut charger un autre établissement titulaire d'une autorisation de fabrication de fabriquer les médicaments destinés à ses propres clients;
- d. les médicaments qui sont destinés à des essais cliniques;
- e. les médicaments qui ne peuvent être standardisés.

³ Le Conseil fédéral peut prévoir le régime de l'autorisation de mise sur le marché pour le procédé d'obtention ou de fabrication des médicaments qui ne peuvent être standardisés.

⁴ L'institut peut autoriser, pour une durée limitée, la distribution ou la remise de médicaments contre des maladies mortelles qui ne sont pas autorisés à être mis sur le marché si une telle autorisation est compatible avec la protection de la santé, qu'une grande utilité thérapeutique est attendue de l'administration de ces médicaments et qu'il n'existe pas de médicament équivalent.

Art. 26 LPT

Art. 26: Principe de la prescription et de la remise

¹ Les règles reconnues des sciences pharmaceutiques et médicales doivent être respectées lors de la prescription et de la remise de médicaments.

² Un médicament ne doit être prescrit que si l'état de santé du consommateur ou du patient est connu.

Art. 59 LPT

Art. 59: Obligation d'annoncer, système de notification et droit d'annoncer

L'obligation d'annoncer les effets indésirables et les incidents, telle que prévue à l'article 59 de la LPT, s'applique également pour l'utilisation d'une préparation sur la base d'une autorisation spéciale.

¹ Quiconque fabrique des produits thérapeutiques ou en distribue qui sont prêts à l'emploi doit mettre en place un système d'annonce. Il est tenu d'annoncer à l'institut tout effet indésirable ou incident:

- a. qui est ou pourrait être imputable au produit thérapeutique lui-même, à son administration ou à un étiquetage ou à un mode d'emploi incorrects;
- b. qui pourrait mettre en péril ou altérer la santé du consommateur, du patient, de tiers ou des animaux traités.

² Quiconque fabrique ou distribue des produits thérapeutiques est tenu en outre d'annoncer à l'institut tout défaut et tout fait ou évaluation susceptibles d'influer sur les bases de l'appréciation.

³ Est aussi tenu d'annoncer tout effet indésirable grave ou jusque-là inconnu et tout incident ou défaut, quiconque, à titre professionnel, administre des produits thérapeutiques à l'être humain ou aux animaux ou en remet.

⁴ Les consommateurs, les patients et leurs organisations ainsi que les tiers intéressés peuvent annoncer à l'institut les effets indésirables de produits thérapeutiques et les incidents qui leur sont imputables.

Art. 95 LPT

Art. 95: Dispositions transitoires

¹ Les enregistrements de médicaments effectués par l'Office fédéral de la santé publique, par l'Office vétérinaire fédéral et par l'Office intercantonal de contrôle des médicaments sont valables pendant cinq ans au plus à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi.

² Les autorisations cantonales de médicaments sont valables pendant sept ans à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi; les médicaments peuvent être autorisés par l'institut dans les deux ans suivant l'échéance du délai transitoire. Sont réservés:

- a. la révocation d'une autorisation par le canton;
- b. le remplacement, sur demande, d'une autorisation cantonale par une autorisation de mise sur le marché délivrée par l'institut.

³ Les demandes d'autorisation de mise sur le marché pour les médicaments qui n'étaient soumis à une telle autorisation ni par le droit cantonal ni par le droit fédéral, mais qui doivent l'être en vertu de la présente loi, doivent être présentées dans le délai d'une année à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi. Ces médicaments peuvent continuer d'être mis sur le marché jusqu'à ce que l'institut ait pris une décision.

⁴ Les diagnostics in vitro peuvent être mis sur le marché conformément à l'ancien droit jusqu'au 7 décembre 2003. Les autorisations et les enregistrements des diagnostics in vitro établis conformément à l'ancien droit sont valables jusqu'à l'expiration de leur durée de validité ou pendant trois ans au plus à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi.

⁵ Les autorisations délivrées par la Confédération et par les cantons conformément à l'ancien droit sont valables jusqu'à l'expiration de la durée de leur validité ou pendant cinq ans au plus à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi.

⁶ Les personnes qui ne satisfont pas aux dispositions relatives à la remise de médicaments (art. 24 et 25) doivent cesser d'en remettre dans le délai de sept ans à compter de la date de l'entrée en vigueur de la présente loi. Le Conseil fédéral peut cependant prévoir des dérogations pour les personnes qui apportent la preuve qu'elles possèdent une formation appropriée suffisante.

⁷ Les mesures administratives prises par l'institut et visées à l'art. 66 sont réservées.