



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1^{er} mars 2023
EMA/338312/2016 Rev. 4
Agence européenne des médicaments

À propos de l'Agence

Le présent document fournit un aperçu général des principales responsabilités incombant à l'Agence européenne des médicaments (EMA). Il se fonde sur la rubrique «À propos de l'Agence» du site web de l'EMA.

Veillez noter que ce document comprend des liens vers des rubriques du site web de l'EMA, dont certaines ne sont disponibles qu'en anglais.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Table des matières

À propos de l'Agence.....	3
1. Que faisons-nous?	3
Faciliter le développement des médicaments et l'accès à ces derniers.....	3
Évaluer les demandes d'autorisation de mise sur le marché.....	5
Surveiller la sécurité des médicaments tout au long de leur cycle de vie	5
Fournir des informations aux professionnels de la santé et aux patients.....	5
Ce que nous ne faisons pas	5
2. Autorisation des médicaments	7
Procédure d'autorisation centralisée	7
Avantages pour les citoyens de l'UE	7
Portée de la procédure d'autorisation centralisée	7
Qui prend les décisions concernant l'accès des patients aux médicaments?	8
Comment la sécurité d'un médicament est-elle garantie après sa mise sur le marché?	9
Procédures d'autorisation nationales	9
3. Préparation aux crises et gestion de celles-ci.....	10
Pénuries de médicaments et de dispositifs médicaux critiques	10
Développement, approbation et surveillance des médicaments	11
Conseils d'experts sur les dispositifs médicaux à haut risque	12
4. Comment l'EMA évalue les médicaments à usage humain	12
Préparer une demande	12
Processus d'évaluation.....	14
Intervention d'experts supplémentaires	16
Issue.....	19
5. Qui sommes-nous?	20
Conseil d'administration.....	20
Directeur exécutif	20
Personnel de l'Agence.....	20
Comités scientifiques.....	21
6. Conseil d'administration	21
Composition	21
7. Comment nous travaillons	22
8. Réseau européen de réglementation des médicaments	23
Avantages du réseau pour les citoyens de l'UE.....	23
Mise en commun de compétences	23
Équipes d'évaluation multinationales	24
Mise en commun d'informations.....	24
9. Gestion des intérêts contradictoires	24
Experts scientifiques	24
Procédure d'abus de confiance.....	26
Membres du personnel	26
Membres du conseil d'administration	26
Évaluation annuelle des politiques en matière d'indépendance	26

À propos de l'Agence

L'EMA est une agence décentralisée de l'Union européenne, dont le siège est situé à Amsterdam. Opérationnelle depuis 1995, l'Agence est chargée de l'évaluation scientifique, de la surveillance et de la pharmacovigilance des médicaments développés par des entreprises pharmaceutiques en vue de leur utilisation dans l'UE.

L'EMA protège la santé publique et animale dans les États membres de l'UE, ainsi que dans les pays de l'Espace économique européen (EEE), en veillant à ce que tous les médicaments disponibles sur le marché de l'UE soient sûrs, efficaces et de grande qualité.

1. Que faisons-nous?

La mission de l'EMA est de favoriser l'excellence scientifique en matière d'évaluation et de surveillance des médicaments, dans l'intérêt de la santé publique et animale dans l'UE.

Faciliter le développement des médicaments et l'accès à ces derniers

L'EMA s'engage à permettre l'**accès des patients en temps opportun** aux nouveaux médicaments, et joue un rôle crucial de soutien au développement des médicaments dans l'intérêt des patients.

Elle met en œuvre un vaste éventail de **mécanismes de réglementation** pour atteindre ces objectifs, constamment revus et améliorés. Pour plus d'informations, veuillez consulter les rubriques suivantes:

- [soutien à un accès précoce](#);
- [avis scientifiques et assistance à l'élaboration de protocoles](#);
- [procédures pédiatriques](#);
- soutien scientifique aux [médicaments de thérapie innovante](#);
- [désignation orpheline](#) des médicaments pour les maladies rares;
- [lignes directrices scientifiques](#) sur les exigences relatives à l'évaluation de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité des médicaments;
- [groupe de travail sur l'innovation](#) (forum favorisant un dialogue précoce avec les demandeurs).

L'EMA participe également au [soutien à la recherche](#) et à l'innovation dans le secteur pharmaceutique, et encourage l'innovation et le développement de nouveaux médicaments par les [micro, petites et moyennes entreprises](#) européennes.

Qui réalise les recherches initiales sur les médicaments?

Les recherches initiales sur les médicaments sont généralement réalisées par des entreprises **pharmaceutiques et biotechnologiques** – certaines grandes entreprises développent de nombreux médicaments, tandis que d'autres sont de petites entreprises qui peuvent ne travailler que sur un ou deux médicaments.

Médecins et universitaires effectuent eux aussi des recherches, et peuvent s'unir pour étudier de nouveaux médicaments ou de nouveaux usages d'anciens médicaments. Ces chercheurs, que ce soit dans des organismes publics ou dans des entreprises privées, étudient chaque année un grand nombre de substances pour leur potentiel en tant que médicaments.

Cependant, seule une faible proportion des composés étudiés sera suffisamment prometteuse pour faire l'objet d'un développement ultérieur.



Le saviez-vous?

Les développeurs de **traitements innovants** peuvent discuter des aspects scientifiques, juridiques et réglementaires de leur médicament avec l'EMA à une phase précoce du développement en s'adressant à l'[Innovation Task Force](#). En [2018](#), 9 demandes de discussions précoces sur 22 sont venues de groupes universitaires ou académiques.

Comment sont testés les nouveaux médicaments potentiels?

Les nouveaux médicaments potentiels sont d'abord testés en laboratoire, puis sur des volontaires humains, dans des études appelées essais cliniques. Ces tests nous aident à comprendre comment les médicaments fonctionnent et à évaluer leurs **bénéfices et leurs effets secondaires**.

Les développeurs de médicaments qui souhaitent mener des [essais cliniques](#) dans l'UE doivent introduire des demandes devant les autorités nationales compétentes des pays où ils souhaitent mener ces essais.

L'EMA n'a aucun rôle dans l'autorisation des essais cliniques dans l'Union; cette responsabilité incombe aux autorités nationales compétentes.

Cependant, l'EMA, en coopération avec les États membres de l'Union, joue un rôle central en vérifiant que les développeurs de médicaments observent les **normes de l'Union et les normes internationales**.

Qu'ils réalisent ces études au sein de l'Union ou hors de l'Union, les développeurs qui réalisent des études à l'appui de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament dans l'Union doivent respecter des règles strictes. Ces règles, appelées les [Bonnes pratiques cliniques](#), s'appliquent à la manière dont ils conçoivent leurs études, dont ils enregistrent les résultats et dont ils les annoncent. Elles sont là pour garantir que ces études sont scientifiquement fiables et menées de façon éthique.

L'EMA peut-elle influencer sur le choix des médicaments à développer?

L'EMA **ne peut pas promouvoir des médicaments ou financer des travaux de recherche** relatifs à un médicament spécifique, ni contraindre des entreprises à étudier des médicaments donnés ou des traitements pour une maladie donnée.

En sa qualité d'autorité de régulation des médicaments, l'EMA se doit d'être neutre et ne peut pas avoir un intérêt financier ni tout autre type d'intérêt dans un médicament en cours de développement.

Cela dit, l'EMA peut indiquer, et indique en effet, les domaines dans lesquels il y a un besoin de nouveaux médicaments – par exemple de nouveaux antibiotiques – afin **d'encourager les parties concernées** à travailler dessus. En outre, la législation de l'Union propose des mesures visant à encourager les entreprises à développer des [médicaments pour le traitement des maladies rares](#). Ces mesures comprennent notamment des réductions tarifaires sur les avis scientifiques fournis par l'EMA.

La législation de l'Union propose également un système d'obligations, de récompenses et d'incitations pour encourager les fabricants à créer et développer des [médicaments pour les enfants](#).

Évaluer les demandes d'autorisation de mise sur le marché

Les [comités scientifiques](#) de l'EMA fournissent des recommandations indépendantes sur les médicaments à usage humain et à usage vétérinaire, fondées sur une **évaluation scientifique approfondie des données**.

Les évaluations par l'Agence des demandes d'autorisation de mise sur le marché soumises selon la procédure centralisée constituent la base de [l'autorisation des médicaments](#) en Europe.

Elles sous-tendent également les décisions importantes relatives aux médicaments commercialisés en Europe, signalés à l'EMA dans le cadre des [procédures de saisine](#). L'EMA coordonne [les inspections](#) concernant l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché ou les questions soumises à ses comités.

Surveiller la sécurité des médicaments tout au long de leur cycle de vie

L'EMA **surveille** et supervise constamment la sécurité des médicaments qui ont été autorisés dans l'UE, afin de veiller à ce que leurs **bénéfices soient supérieurs à leurs risques**. L'Agence s'acquitte des tâches suivantes:

- elle élabore des lignes directrices et définit des normes;
- elle coordonne le contrôle du respect, par les entreprises pharmaceutiques, de leurs obligations en matière de pharmacovigilance;
- elle contribue aux activités internationales de pharmacovigilance menées avec des autorités extérieures à l'UE;
- elle informe le public sur les questions de sécurité des médicaments et coopère avec les parties extérieures, en particulier les représentants des patients et des professionnels de la santé.

Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique [Pharmacovigilance](#).

Fournir des informations aux professionnels de la santé et aux patients

L'Agence publie des **informations claires et impartiales** sur les médicaments et leurs utilisations approuvées. Il s'agit en particulier des versions publiques des rapports d'évaluation scientifique ainsi que de résumés rédigés dans un langage accessible à tous.

Pour plus d'informations, veuillez consulter les rubriques suivantes:

- [Transparence](#)
- [Recherche sur les médicaments à usage humain](#)
- [Recherche sur les médicaments à usage vétérinaire](#)

Ce que nous ne faisons pas

Le mandat de l'Agence n'englobe pas tous les aspects de la réglementation relative aux médicaments dans l'UE. L'EMA n'est pas compétente pour:

- **évaluer la demande initiale d'autorisation de mise sur le marché de tous les médicaments dans l'UE**. La grande majorité des médicaments disponibles dans l'UE sont autorisés à l'échelle nationale. Pour plus d'informations sur les modes d'autorisation des médicaments dans l'UE, veuillez consulter le chapitre 2 du présent document sur l'autorisation des médicaments;

- **évaluer les demandes d'autorisation d'essais cliniques.** L'autorisation d'[essais cliniques](#) intervient à l'échelle des États membres, même si l'Agence joue un rôle clé en veillant, en coopération avec les États membres, à l'application des normes de bonnes pratiques cliniques et gère une base de données des essais cliniques réalisés dans l'UE;
- **évaluer les dispositifs médicaux.** Les dispositifs médicaux sont régulés par les autorités nationales compétentes en Europe. L'EMA participe à l'évaluation de certaines catégories de dispositifs médicaux. Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique [Dispositifs médicaux](#);
- **mener des recherches ou développer des médicaments.** Des entreprises pharmaceutiques ou d'autres sociétés qui développent des médicaments mènent des recherches et développent des médicaments, puis soumettent les conclusions et les résultats des essais sur leurs produits à l'Agence, pour évaluation;
- **prendre des décisions concernant le prix ou la disponibilité des médicaments.** Les décisions relatives au prix et au remboursement sont prises au niveau de chaque État membre, compte tenu du rôle et de l'utilisation potentiels du médicament dans le cadre du système national de santé du pays considéré. Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique [Organes d'évaluation des technologies médicales](#);
- **contrôler la publicité relative aux médicaments.** Le contrôle de la publicité relative aux médicaments en vente libre dans l'UE est principalement effectué sur la base de l'autorégulation par les organisations du secteur, soutenue par la mission statutaire des [autorités nationales de régulation](#) des États membres;
- **contrôler ou obtenir des informations relatives aux brevets pharmaceutiques.** Les brevets ayant effet dans la plupart des pays européens peuvent être obtenus soit à l'échelle nationale, auprès des offices nationaux des brevets, soit à travers un processus centralisé auprès de [l'Office européen des brevets](#);
- **élaborer des lignes directrices relatives aux traitements.** Les gouvernements nationaux ou les autorités sanitaires des différents [États membres de l'UE](#) élaborent des lignes directrices relatives aux décisions en matière de diagnostic, de gestion et de traitement dans des domaines spécifiques des soins de santé (celles-ci sont parfois intitulées «lignes directrices de pratique clinique»);
- **dispenser des conseils médicaux.** Les professionnels de la santé sont là pour apporter des conseils aux patients concernant les pathologies, les traitements ou les effets indésirables d'un médicament;
- **élaborer des lois concernant les médicaments.** La [Commission européenne](#) élabore la législation de l'Union européenne sur les médicaments, qui est ensuite adoptée par le [Parlement européen](#) et le [Conseil de l'Union européenne](#). La Commission européenne définit également les politiques de l'UE concernant les médicaments à usage humain ou vétérinaire et la santé publique. Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique [Commission européenne: médicaments à usage humain](#);
- **délivrer des autorisations de mise sur le marché.** La décision légale d'octroyer, de suspendre ou de retirer une autorisation de mise sur le marché d'un médicament relève du mandat de la [Commission européenne](#) pour les produits autorisés selon la procédure centralisée, et des autorités nationales compétentes des [États membres de l'UE](#) pour les produits autorisés selon la procédure nationale.

2. Autorisation des médicaments

Tous les médicaments doivent être autorisés avant de pouvoir être commercialisés et mis à la disposition des patients. Dans l'UE, il existe deux principaux modes d'autorisation des médicaments: un mode centralisé et un mode national.

Procédure d'autorisation centralisée

Dans le cadre de la procédure d'autorisation centralisée, les entreprises pharmaceutiques soumettent à l'EMA **une seule demande d'autorisation de mise sur le marché.**

Cela permet au détenteur de l'autorisation de mise sur le marché de commercialiser le médicament et de le mettre à la disposition des patients et des professionnels des soins de santé dans l'ensemble de l'UE, sur la base d'une seule autorisation de mise sur le marché.

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) ou le comité des médicaments à usage vétérinaire (CVMP) de l'EMA effectuent une évaluation scientifique de la demande, et recommandent ou non la mise sur le marché du médicament.

Une fois octroyée par la [Commission européenne](#), l'autorisation de mise sur le marché centralisée est **valide dans tous les États membres de l'UE**, ainsi que dans les pays de l'EEE (Islande, Liechtenstein et Norvège).

Avantages pour les citoyens de l'UE

- Les médicaments sont autorisés simultanément pour tous les citoyens de l'UE.
- Les experts européens réalisent une évaluation unique.
- Les informations sur le produit sont disponibles simultanément dans toutes les langues de l'UE.

Portée de la procédure d'autorisation centralisée

La procédure centralisée est **obligatoire** pour:

- les médicaments à usage humain contenant une nouvelle substance active destinés à traiter:
 - le [virus de l'immunodéficience humaine](#) (VIH) ou syndrome immunodéficitaire acquis (SIDA);
 - le [cancer](#);
 - le [diabète](#);
 - les [maladies neurodégénératives](#);
 - les [maladies auto-immunes et autres dysfonctionnements immunitaires](#);
 - les [maladies virales](#);
- les médicaments dérivés de processus biotechnologiques, tels que le génie génétique;
- les [médicaments de thérapie innovante](#), issus par exemple de la thérapie génique, de la thérapie cellulaire somatique ou de l'ingénierie tissulaire;
- les [médicaments orphelins](#) (médicaments pour le traitement des maladies rares);
- les médicaments vétérinaires destinés à être utilisés comme améliorateurs de performance (accroître la croissance ou la productivité).

La procédure centralisée est **optionnelle** pour les médicaments:

- contenant de nouvelles substances actives qui permettent de traiter d'autres affections que celles susmentionnées;
- constituant des innovations thérapeutiques, scientifiques ou techniques importantes;
- dont l'autorisation bénéficierait à la santé publique ou animale à l'échelle de l'UE.

La **grande majorité des nouveaux médicaments innovants** sont aujourd'hui soumis à la procédure d'autorisation centralisée aux fins de leur commercialisation dans l'UE.

Qui prend les décisions concernant l'accès des patients aux médicaments?

Les médicaments qui reçoivent de la Commission européenne une autorisation de mise sur le marché peuvent être commercialisés dans l'ensemble de l'UE.

Cependant, avant qu'un médicament ne soit mis à la disposition des patients dans un pays donné de l'Union, les décisions relatives au **prix** et au **remboursement** se font aux niveaux national et régional, dans le cadre du système national de santé.

L'EMA ne joue aucun rôle dans les décisions relatives au prix et au remboursement. Toutefois, pour faciliter ces processus, l'Agence collabore avec des organismes d'évaluation des technologies de la santé (ETS), qui évaluent l'efficacité relative du nouveau médicament par comparaison avec les médicaments existants, et avec des **payeurs de soins de santé** de l'UE, qui examinent le rapport coût-efficacité du médicament, son incidence sur les budgets alloués aux soins de santé et la gravité de la maladie.

L'objectif de cette collaboration est de trouver des moyens pour les développeurs de traiter les besoins en matière de données des autorités de régulation des médicaments ainsi que ceux des organismes d'ETS et des payeurs de soins de santé pendant le développement d'un médicament, plutôt que de produire de nouvelles données après l'autorisation de ce dernier. Si un ensemble de données probantes portant sur les besoins de tous ces groupes peut être produit à une étape précoce du développement d'un médicament, cela devrait rendre plus rapide et plus simple l'adoption de décisions relatives au prix et au remboursement au niveau national.

Pour y parvenir, l'EMA et le [réseau européen pour l'évaluation des technologies de la santé](#) (EUnetHTA) offrent aux développeurs de médicaments la possibilité de recevoir [des avis coordonnés simultanés sur leurs plans de développement](#).

Des représentants des patients participent régulièrement à ces consultations afin que leurs idées et expériences puissent être incorporées aux débats.



Le saviez-vous?

En 2019, des avis simultanés de l'EMA et d'organismes d'ETS ont été fournis sur demande au cours du développement de 27 médicaments. Des patients ont participé aux deux tiers de ces dossiers.

Comment la sécurité d'un médicament est-elle garantie après sa mise sur le marché?

Une fois qu'un médicament a été autorisé pour utilisation dans l'Union, l'EMA et les États membres de l'Union **contrôlent constamment** sa sécurité et prennent des mesures si de nouvelles informations indiquent que le médicament n'est plus aussi sûr et efficace qu'on le pensait.

- La pharmacovigilance implique un certain nombre **d'activités de routine** allant de:
- évaluer la façon dont les risques associés à un médicament seront gérés et surveillés une fois qu'il sera autorisé;
- surveiller en permanence les effets secondaires suspectés signalés par les patients et les professionnels de la santé, identifiés dans de nouvelles études cliniques ou signalés dans des publications scientifiques;
- évaluer régulièrement les rapports présentés par la société titulaire de l'autorisation de mise sur le marché sur le rapport bénéfice/risque d'un médicament en situation réelle;
- évaluer la conception et les résultats des études de sécurité post-autorisation requises au moment de l'autorisation.

L'EMA peut également réaliser un examen d'un médicament ou d'une classe de médicaments sur demande d'un État membre ou de la Commission européenne. C'est ce qu'on appelle les **procédures de saisine** de l'Union; elles sont généralement déclenchées par des inquiétudes liées à la sécurité d'un médicament, à l'efficacité des mesures de minimisation des risques ou au rapport bénéfice/risque du médicament.

L'EMA possède un comité spécial chargé d'évaluer et de contrôler la sécurité des médicaments, le [comité pour l'évaluation des risques en matière de pharmacovigilance \(PRAC\)](#). Cela permet de garantir que l'EMA et les États membres de l'Union peuvent agir très rapidement dès qu'un problème est détecté et **prendre toute mesure nécessaire**, notamment la modification des informations accessibles aux patients et aux professionnels de santé, limiter l'utilisation d'un médicament ou le suspendre, en temps voulu pour protéger les patients.

Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique [Pharmacovigilance: Aperçu général](#)

Procédures d'autorisation nationales

La majorité des médicaments disponibles dans l'UE ont été autorisés à l'échelle nationale, soit parce qu'ils avaient été autorisés avant la création de l'EMA, soit parce qu'ils ne relevaient pas de la procédure centralisée.

Chaque État membre de l'UE a ses propres procédures d'autorisation nationales. Les informations relatives à ces procédures figurent généralement sur les sites web des autorités nationales compétentes:

- [Autorités nationales compétentes \(médicaments à usage humain\)](#)
- [Autorités nationales compétentes \(médicaments à usage vétérinaire\)](#)

Si une entreprise souhaite demander une autorisation de mise sur le marché dans plusieurs États membres de l'UE pour un médicament ne relevant pas de la procédure centralisée, elle peut utiliser l'un des modes suivants:

- la **procédure de reconnaissance mutuelle**, grâce à laquelle une autorisation de mise sur le marché octroyée dans un État membre de l'UE peut être reconnue dans d'autres pays de l'UE,

- la **procédure décentralisée**, grâce à laquelle un médicament qui n'a pas encore été autorisé dans l'UE peut être simultanément autorisé dans plusieurs États membres de l'UE.

Pour plus d'informations, veuillez consulter les rubriques suivantes:

- [Groupe de coordination pour la procédure de reconnaissance mutuelle et la procédure décentralisée – médicaments à usage humain](#)
- [Groupe de coordination pour la procédure de reconnaissance mutuelle et la procédure décentralisée – médicaments à usage vétérinaire](#)

Les **exigences relatives aux données** et les normes régissant l'autorisation des médicaments sont identiques dans l'UE, quel que soit le mode d'autorisation utilisé.

3. Préparation aux crises et gestion de celles-ci

L'Agence européenne des médicaments (EMA) joue un rôle formel dans la préparation aux situations de crise qui affectent le marché unique des médicaments et des dispositifs médicaux de l'Union européenne (UE) et dans la gestion de celles-ci, sur la base de la législation entrée en vigueur le 1^{er} mars 2022.

Le [règlement \(UE\) 2022/123](#) vise à donner à l'UE les moyens de réagir rapidement, efficacement et de manière coordonnée aux **crises sanitaires**. Il formalise certaines des structures et certains des processus mis en place par l'EMA lors de la [pandémie de COVID-19](#) et attribue de nouvelles tâches à l'EMA dans les domaines suivants:

- surveiller et atténuer les pénuries réelles ou potentielles de médicaments et de dispositifs médicaux critiques;
- apporter un soutien scientifique au développement en temps opportun de médicaments de haute qualité, sûrs et efficaces en cas d'urgence de santé publique;
- assurer le bon fonctionnement des groupes d'experts chargés d'évaluer les dispositifs médicaux à haut risque et de fournir des conseils sur la préparation aux crises et la gestion de celles-ci.
- Le règlement est entré en vigueur le 1^{er} mars 2022. Toutefois, les dispositions relatives aux pénuries de [dispositifs médicaux](#) critiques seront applicables à partir du 2 février 2023.
- Il fait partie du [paquet «Union européenne de la santé»](#) proposé par la Commission européenne en novembre 2020 et est conforme aux priorités du réseau européen de réglementation des médicaments.
- L'EMA collabore avec la Commission et d'autres partenaires de l'UE pour mettre en œuvre le règlement.

Pénuries de médicaments et de dispositifs médicaux critiques

L'EMA assume les responsabilités suivantes en matière de surveillance et d'atténuation des **pénuries de médicaments et de dispositifs médicaux** au titre du règlement (UE) 2022/123:

- surveillance d'événements, y compris les [pénuries de médicaments](#), qui pourraient conduire à une situation de crise (urgences de santé publique ou événements majeurs), en s'appuyant sur les structures et les processus mis en place par l'EMA, notamment le [réseau de points de contact uniques \(SPOC\)](#) et les points de contact uniques de l'industrie (iSPOC);

- notification des pénuries et coordination des réponses des pays de l'UE aux pénuries de médicaments critiques en cas de crise;
- surveillance d'événements, notification des pénuries et coordination des réponses des pays de l'UE aux pénuries de [dispositifs médicaux et dispositifs médicaux de diagnostic in vitro](#) critiques lors des urgences de santé publique (à partir du 2 février 2023);
- mise en place et tenue à jour de la plateforme européenne de surveillance des pénuries afin de faciliter la collecte d'informations sur les pénuries, **l'offre et la demande de médicaments**, y compris les informations fournies par les titulaires d'autorisations de mise sur le marché (d'ici début 2025);
- mise en place de deux groupes de pilotage chargés de coordonner les actions de l'UE visant à atténuer les problèmes d'approvisionnement en médicaments et dispositifs médicaux, le groupe de pilotage exécutif sur les pénuries de médicaments et leur innocuité et le groupe de pilotage exécutif sur les pénuries de dispositifs médicaux. Le groupe de pilotage exécutif sur les pénuries de médicaments et leur innocuité est également chargé de l'évaluation et de la coordination des actions concernant l'innocuité, la qualité et l'efficacité des médicaments en situation de crise.

Les principaux avantages de ces responsabilités pour l'EMA sont les suivants:

- coordination accrue dans la prévention et l'atténuation des pénuries de médicaments et de dispositifs médicaux dans l'UE;
- fourniture d'une plateforme européenne centralisée pour notifier, surveiller, prévenir et gérer les pénuries de médicaments;

Développement, approbation et surveillance des médicaments

L'EMA assume les responsabilités suivantes en ce qui concerne le développement, l'approbation et la surveillance des médicaments, en préparation à une urgence de santé publique et lors de celle-ci, au titre du règlement (UE) 2022/123:

- créer une [task force pour les situations d'urgence \(ETF\)](#) afin de fournir des avis scientifiques et d'examiner les éléments probants sur les médicaments susceptibles de répondre à une urgence de santé publique, d'offrir un soutien scientifique pour faciliter les essais cliniques et d'aider les comités scientifiques de l'EMA en ce qui concerne l'autorisation et la surveillance de l'innocuité des médicaments ainsi que les recommandations relatives à l'usage des médicaments avant leur autorisation. L'ETF s'appuiera sur l'expérience acquise avec le «groupe de travail sur la pandémie de COVID-19» institué par l'EMA pendant la [pandémie de COVID-19](#);
- coordonner avec le [Centre européen de prévention et de contrôle des maladies \(ECDC\)](#) les études indépendantes de surveillance **de l'utilisation, de l'efficacité et de l'innocuité des médicaments** visant à faire face aux urgences de santé publique, y compris les études de surveillance de l'efficacité et de l'innocuité des vaccins;
- investir dans des **données de terrain** et les exploiter pour soutenir la préparation aux crises et la réaction à celles-ci, y compris par l'intermédiaire du réseau [DARWIN EU](#) afin de fournir un accès aux données probantes des bases de données sur les soins de santé dans l'ensemble de l'UE.

Les principaux avantages de ces responsabilités pour l'EMA sont les suivants:

- évaluation accélérée et accès à des médicaments sûrs et efficaces susceptibles de traiter ou de prévenir une maladie constituant ou susceptible de constituer une urgence de santé publique;

- amélioration de la qualité des données et de l'utilisation des ressources grâce à un soutien accru au niveau de l'UE pour la conduite d'essais cliniques en préparation à une urgence de santé publique et lors de celle-ci et grâce à des avis scientifiques harmonisés;
- amélioration de la coordination et de l'harmonisation au niveau de l'UE des activités réglementaires nécessaires en préparation à une urgence de santé publique et lors de celle-ci.

Conseils d'experts sur les dispositifs médicaux à haut risque

En vertu du règlement (UE) 2022/123, l'EMA est chargée d'assurer le bon fonctionnement des [groupes d'experts de l'UE](#) pour certains dispositifs médicaux à haut risque. Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique suivante:

- [Dispositifs médicaux à haut risque](#)

L'EMA a repris la coordination de ces groupes d'experts assurée précédemment par le Centre commun de recherche de la Commission européenne.

Les principaux avantages de cette responsabilité pour l'EMA sont les suivants:

- fonctionnement durable des groupes d'experts dans le long terme;
- amélioration de la coopération entre l'ETF et les groupes d'experts lors des urgences de santé publique.

4. Comment l'EMA évalue les médicaments à usage humain

L'Agence européenne des médicaments (EMA) est responsable de l'évaluation scientifique des demandes d'autorisation de mise sur le marché centralisée dans l'Union européenne. Cette procédure d'autorisation permet aux entreprises pharmaceutiques de commercialiser le médicament et de le mettre à la disposition des patients et des professionnels des soins de santé dans l'ensemble de l'Espace économique européen, sur la base d'une seule autorisation de mise sur le marché.

Préparer une demande

Que se passe-t-il avant le début de l'évaluation d'un médicament?

Quelques mois avant le début de l'évaluation, l'EMA fournit des orientations aux développeurs de médicaments pour veiller à ce que leurs demandes d'autorisation de mise sur le marché respectent les exigences légales et réglementaires afin d'éviter tout retard inutile.

Pour obtenir une autorisation de mise sur le marché, les développeurs de médicaments doivent fournir des données spécifiques sur leur médicament. L'EMA réalise ensuite un examen complet de ces données pour déterminer si le médicament est sûr, efficace et de qualité et, donc, adapté à l'utilisation chez des patients.

L'EMA fournit aux entreprises des orientations sur le type d'informations qui doit être inclus dans une demande d'autorisation de mise sur le marché.

Environ 6 à 7 mois avant de déposer une demande, les développeurs de médicaments peuvent rencontrer l'EMA pour s'assurer que leur demande respecte les exigences légales et réglementaires. On entend par là que la demande inclut tous les divers aspects exigés par la législation européenne et nécessaires pour démontrer qu'un médicament fonctionne comme prévu.

Un grand nombre de membres du personnel de l'EMA responsables de secteurs variés tels que la qualité, la sécurité et l'efficacité, la gestion des risques ou les aspects pédiatriques prend part à ces réunions. Ces membres du personnel suivront la demande tout au long de l'évaluation.

L'EMA incite les développeurs à demander de telles réunions lors de la phase de présoumission, car elles visent à améliorer la qualité des demandes et à éviter des retards inutiles.

Qui assume les frais de l'évaluation d'un médicament?

La législation européenne impose aux entreprises pharmaceutiques de contribuer aux frais de la réglementation des médicaments. Étant donné que les entreprises toucheront des revenus des ventes de médicaments, il est juste qu'elles doivent assumer l'essentiel des coûts financiers de leur réglementation. Cela signifie que les contribuables de l'Union n'ont pas à assumer tous les coûts visant à garantir la sécurité et l'efficacité des médicaments.

Les entreprises paient d'avance des frais de gestion, avant le début de l'évaluation par l'EMA. Les frais de gestion applicables pour chaque procédure sont définis par la législation de l'Union.

Quelles informations doivent être fournies dans une demande d'autorisation de mise sur le marché?

Les données fournies par les développeurs de médicaments dans leur demande d'autorisation de mise sur le marché doivent respecter la législation de l'Union et inclure des informations sur:

- le groupe de patients que le médicament est censé traiter, et un éventuel besoin médical non satisfait que vient combler le médicament;
- la qualité du médicament, y compris ses propriétés chimiques et physiques telles que sa stabilité, sa pureté et son activité biologique;
- le respect des exigences internationales sur les tests en laboratoire, sur la fabrication de médicaments et sur la réalisation d'essais cliniques («bonnes pratiques de laboratoire», «bonnes pratiques cliniques» et «bonnes pratiques de fabrication»);
- le mécanisme d'action du médicament, tel qu'examiné dans les études de laboratoire;
- la façon dont le médicament se diffuse dans le corps et est éliminé par ce dernier;
- les bénéfices constatés au sein du groupe de patients auquel le médicament est destiné;
- les effets secondaires observés chez les patients, notamment dans des populations particulières telles que les enfants ou les personnes âgées;
- la façon dont les risques seront gérés et contrôlés une fois que le médicament aura été autorisé;
- les informations destinées à être recueillies dans les études de suivi, après l'autorisation.

Les informations sur des problèmes de sécurité possibles (connus ou potentiels) posés par le médicament, la façon dont les risques seront gérés et contrôlés quand le médicament aura été autorisé et les informations qu'il est prévu de recueillir dans les études de suivi après l'autorisation sont décrites en détail dans un document appelé le «plan de gestion des risques» (PGR). Le PGR est évalué par le comité de sécurité de l'EMA, le PRAC, pour garantir son adéquation.

Les informations à donner aux patients et aux professionnels de santé (à savoir le résumé des caractéristiques du produit ou «RCP», l'étiquetage et la notice) doivent également être fournies par le développeur et sont examinées et approuvées par le CHMP.

D'où proviennent les données sur le médicament?

La plupart des données probantes recueillies sur un médicament pendant son développement proviennent d'études financées par le développeur du médicament. Toute autre donnée disponible concernant le médicament (par exemple dans des études existantes de la littérature médicale) doit également être fournie par le demandeur et sera examinée.

Les études allant dans le sens de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament doivent respecter des règles strictes et sont réalisées dans un cadre réglementé. Les normes internationales appelées bonnes pratiques cliniques s'appliquent au plan d'étude, à l'enregistrement et à la notification, afin de garantir que les études soient scientifiquement fiables et menées de façon éthique. Les types de données probantes nécessaires pour déterminer les risques et bénéfices d'un médicament sont définis par la législation de l'Union et doivent être respectés par les développeurs de médicaments. Des inspections peuvent être demandées par l'EMA pour vérifier le respect desdites normes.

L'EMA soutient la réalisation d'études de haute qualité à travers des initiatives telles que le réseau européen de recherche pédiatrique à l'Agence européenne des médicaments (Enpr-EMA) et le réseau européen de centres de pharmacoépidémiologie et de pharmacovigilance (ENCePP) qui rassemblent l'expertise de centres universitaires indépendants à travers l'Europe. Grâce à ces initiatives, des sources de données probantes supplémentaires peuvent compléter celles fournies par les développeurs de médicaments, en particulier dans le contexte de la pharmacovigilance continue d'un médicament après son autorisation.

Processus d'évaluation

Quel est le principe clef sous-tendant l'évaluation d'un médicament?

Le rapport entre les bénéfices et les risques d'un médicament est le principe clef qui guide l'évaluation d'un médicament. Un médicament ne peut être autorisé que si ses bénéfices sont supérieurs aux risques.

Tous les médicaments présentent à la fois des bénéfices et des risques. Quand elle examine les données probantes recueillies sur un médicament, l'EMA détermine si les bénéfices de ce médicament sont supérieurs aux risques pour le groupe de patients auquel il est destiné.

De plus, comme on ne sait pas tout sur la sécurité d'un médicament au moment de son autorisation initiale, la façon dont les risques seront réduits au minimum, gérés et contrôlés quand le médicament sera plus largement utilisé fait également partie intégrante de l'évaluation et fait l'objet d'un accord au moment de l'autorisation.

Bien que l'autorisation d'un médicament soit fondée sur **un rapport globalement favorable entre les risques et les bénéfices** au niveau de la population, chaque patient est différent et, avant qu'un médicament ne soit utilisé, les médecins et leur patient devraient décider si c'est pour eux la bonne option de traitement compte tenu des informations disponibles sur le médicament et de la situation particulière du patient.



Le saviez-vous?

Dans certains cas, par exemple quand un médicament est destiné à traiter une maladie potentiellement mortelle pour laquelle il n'y a pas de traitement satisfaisant ou quand la maladie ciblée est très rare, l'EMA peut recommander une autorisation de mise sur le marché sur la base de données probantes sur le médicament moins complètes ou limitées, à condition que des données complémentaires soient fournies à un stade ultérieur.

Comme pour toutes les autorisations de mise sur le marché, il convient tout de même de démontrer que les bénéfices du médicament sont supérieurs aux risques.

Pour plus d'informations, veuillez consulter les rubriques suivantes:

- [Autorisation conditionnelle de mise sur le marché](#)
- [Orientation sur les procédures d'octroi de l'autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles](#)

Qui participe à l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché?

Un **comité d'experts**, chacun soutenu par une équipe d'évaluateurs, évalue les candidatures.

[Le comité des médicaments à usage humain \(CHMP\)](#) de l'EMA examine les demandes déposées par les développeurs de médicaments et recommande ou non l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché d'un médicament. Le comité est composé d'un membre et d'un suppléant de chaque État membre de l'Union, ainsi que d'Islande et de Norvège. Il comprend aussi jusqu'à cinq experts de l'Union dans des domaines concernés tels que les statistiques et la qualité des médicaments, nommés par la Commission européenne.

Quand ils réalisent une évaluation, les membres du CHMP sont chacun soutenus par une équipe d'examineurs des agences nationales; ces examinateurs disposent d'une large expertise et considèrent les divers aspects du médicament, comme sa sécurité, sa qualité et son mode de fonctionnement.

Le CHMP travaille également avec d'autres comités de l'EMA pendant l'évaluation. Il s'agit notamment du:

- [Comité des thérapies innovantes \(CAT\)](#) qui dirige l'évaluation des médicaments de thérapie innovante (thérapie génique, ingénierie tissulaire et thérapie cellulaire);
- [Comité pour l'évaluation des risques en matière de pharmacovigilance \(PRAC\)](#) pour les aspects liés à la sécurité du médicament et à la gestion des risques;
- [Comité pédiatrique \(PDCO\)](#) pour les aspects liés à l'utilisation du médicament chez l'enfant;
- [Comité des médicaments orphelins \(COMP\)](#) pour les médicaments désignés orphelins.

Comment le CHMP fonctionne-t-il?

Évaluation par les pairs et décisions collégiales sont au cœur des évaluations du CHMP.

Pour toute demande concernant un nouveau médicament, deux membres du comité originaires de pays différents – le rapporteur et le corapporteur – sont désignés pour diriger l'évaluation (pour les

médicaments génériques, seul un rapporteur est désigné). Ils sont désignés en fonction de critères objectifs pour tirer le meilleur parti de l'expertise disponible dans l'Union.

Le rôle du rapporteur et du corapporteur est de mener l'évaluation scientifique du médicament indépendamment l'un de l'autre. Chacun d'entre eux met sur pied une **équipe d'évaluation** composée d'examineurs de son agence nationale et parfois d'autres agences nationales.

Dans leurs rapports d'évaluation, les deux équipes résument les données de la demande, présentent leurs avis sur les effets du médicament et leur opinion sur les éventuelles incertitudes et limites des données. Ils relèvent également des questions auxquelles le demandeur devra répondre. Les deux évaluations distinctes prennent en considération les exigences réglementaires, les lignes directrices scientifiques pertinentes et l'expérience en matière d'évaluation de médicaments similaires.

En plus du rapporteur et du corapporteur, le CHMP désigne également un ou plusieurs **pairs évaluateurs** parmi les membres du CHMP. Leur rôle est de se pencher sur la façon dont les deux évaluations ont été réalisées et de s'assurer que l'argumentation scientifique est rationnelle, claire et solide.

Tous les membres du CHMP, par le débat avec leurs collègues et avec les experts de leurs agences nationales, contribuent aussi activement au processus d'évaluation. Ils relisent les évaluations faites par les rapporteurs, émettent des observations et relèvent des questions supplémentaires auxquelles le demandeur devra répondre. L'évaluation initiale et les observations reçues des pairs évaluateurs et des autres membres du comité sont ensuite débattues lors d'une réunion plénière du CHMP.

À la suite des débats et à mesure que de nouvelles informations, provenant soit d'autres experts soit des clarifications fournies par le demandeur, arrivent dans le courant de l'évaluation, les arguments scientifiques sont précisés afin de préparer une recommandation finale représentant l'analyse du comité et son avis sur les données. Cela peut parfois signifier, par exemple, que l'avis du comité sur les risques et bénéfices du médicament peut changer au cours de l'évaluation et diverger des évaluations initiales réalisées par les rapporteurs.

Le CHMP peut-il demander davantage d'informations pendant l'évaluation?

Pendant l'évaluation, le CHMP soulève des questions sur les données probantes fournies dans la demande et invite le demandeur à fournir des **clarifications ou des analyses** complémentaires pour examiner ces questions. Les réponses doivent être fournies dans un délai convenu.

Le CHMP peut soulever des objections ou des inquiétudes liées à n'importe quel aspect du médicament. Si elles ne sont pas réfutées, les objections majeures **empêchent toute autorisation de mise sur le marché**.

Les objections majeures peuvent par exemple concerner la façon dont le médicament a été étudié, la façon dont il est fabriqué ou les effets constatés chez des patients, tels que l'ampleur des bénéfices ou la gravité des effets secondaires.

Intervention d'experts supplémentaires

Sur quelle expertise supplémentaire le CHMP peut-il s'appuyer?

Des experts ayant des connaissances scientifiques ou une expérience clinique spécialisées sont souvent consultés pendant l'évaluation afin d'enrichir le débat scientifique.

Des experts supplémentaires peuvent être appelés par le CHMP à tout moment durant l'évaluation afin de fournir des avis sur des aspects spécifiques évoqués pendant l'évaluation.



Le saviez-vous?

Des experts externes sont consultés dans le cadre d'environ un quart des évaluations de nouveaux médicaments (à l'exclusion des génériques).

Le CHMP peut solliciter l'assistance de ses [groupes de travail](#) ayant une expertise dans un domaine particulier, tel que les biostatistiques, ou dans un secteur thérapeutique, comme le cancer, et leur poser des questions spécifiques. Les membres des groupes de travail de l'EMA ont une connaissance approfondie des dernières évolutions scientifiques dans leur domaine d'expertise.

Le comité peut également faire appel à des experts externes par l'intermédiaire de ses groupes consultatifs scientifiques ou de groupes d'experts ad hoc. Ces groupes, qui comprennent des professionnels de santé et des patients, sont invités à répondre à des questions spécifiques sur l'utilisation et la valeur potentielles du médicament dans la pratique clinique.



Le saviez-vous?

L'EMA échange régulièrement des vues sur les évaluations de médicaments en cours avec d'autres agences de réglementation telles que la [Food and Drug Administration aux États-Unis](#), [Health Canada](#) et les [autorités japonaises de réglementation](#). Ces discussions peuvent être liées, par exemple, à des questions cliniques et statistiques, aux stratégies de gestion des risques et aux études à réaliser après l'autorisation.

Pour plus d'informations, veuillez consulter la rubrique suivante:

- [Activités de relations publiques](#)
-

Comment les patients et les professionnels de santé interviennent-ils?

Les patients et les professionnels de la santé interviennent en tant qu'experts et donnent leur avis sur la capacité du médicament à répondre à leurs besoins.

Les patients et les professionnels de santé sont invités à prendre part, en tant qu'experts, à des groupes consultatifs scientifiques ou à des groupes d'experts ad hoc. Les patients contribuent aux débats en soulignant, par exemple, leur **expérience de la maladie**, leurs besoins et les risques qu'ils jugeraient acceptables au regard des bénéfices escomptés. Les professionnels de santé peuvent donner des conseils portant sur les groupes de patients ayant des besoins non satisfaits ou sur la faisabilité des mesures suggérées pour réduire au minimum les risques associés à un médicament dans la pratique clinique.

En plus, des patients particuliers peuvent être invités aux réunions plénières du CHMP en personne ou par téléconférence ou consultés par écrit (le [rapport sur les résultats d'un projet pilote](#) est disponible).



Le saviez-vous?

En 2018, des patients et des professionnels de santé ont participé à l'évaluation d'environ un nouveau médicament sur quatre (à l'exclusion des génériques).

Quelles sont les mesures visant à garantir l'indépendance des experts?

L'indépendance est garantie par un **haut niveau de transparence** et par la mise en place de restrictions quand certains intérêts sont considérés comme ayant une incidence potentielle sur l'impartialité.

Les politiques de l'EMA [en matière d'intérêts contradictoires](#) ont été mises en place pour restreindre la participation de membres, d'experts et de membres du personnel pouvant avoir des intérêts contradictoires dans le travail de l'Agence, tout en conservant la possibilité pour l'EMA d'avoir accès à la meilleure expertise disponible.

Les membres et experts des comités, des groupes de travail et des groupes consultatifs scientifiques ou des groupes d'experts ad hoc fournissent une **déclaration d'intérêts** avant toute participation à des activités de l'EMA.

L'Agence attribue à chaque déclaration d'intérêts un niveau de risque, selon que l'expert a des intérêts (financiers ou autres) directs ou indirects qui pourraient affecter son impartialité. Avant toute participation à une activité spécifique de l'EMA, cette dernière vérifie la déclaration d'intérêts. Si un intérêt concurrent est décelé, le membre ou l'expert en cause verra ses droits restreints.

Les restrictions comprennent l'absence de participation à la discussion sur un sujet donné ou l'interdiction de voter sur ce sujet. Les déclarations d'intérêt des membres et des experts et les informations sur les restrictions appliquées pendant les réunions du comité scientifique sont accessibles au public dans les procès-verbaux des réunions.

Les règles concernant les experts membres de comités scientifiques sont plus strictes que celles qui s'appliquent aux experts participant à des organes consultatifs et à des groupes d'experts ad hoc. De cette façon, l'EMA peut faire appel à la meilleure expertise dans le contexte des groupes consultatifs afin de réunir les informations les plus utiles et les plus complètes, et appliquer des règles plus strictes quand il s'agit de prendre des décisions.

Parallèlement, les exigences applicables aux présidents et aux membres ayant un rôle de premier plan (rapporteurs par exemple) sont plus strictes que celles applicables aux autres membres de comités.

De plus, les membres des comités, des groupes de travail, des groupes consultatifs scientifiques (et les experts assistant à ces réunions) et les membres du personnel de l'EMA doivent se conformer aux principes fixés dans le [code de conduite de l'EMA](#).



Le saviez-vous?

Les [déclarations d'intérêt](#) de tous les experts, y compris les patients et les professionnels de santé, qui prennent part à des activités de l'EMA sont publiées sur le site web de l'EMA. L'EMA publie également [des rapports annuels](#) sur son indépendance, qui incluent des faits et des chiffres sur les intérêts déclarés et les restrictions qui en résultent.

Issue

Comment le CHMP rend-il sa recommandation finale?

La recommandation finale du CHMP fait l'objet d'un **vote formel**. Idéalement, le CHMP parvient à un consensus et recommande à l'unanimité l'octroi ou le refus de l'autorisation de mise sur le marché; un tel consensus est atteint dans 90 % des cas. Cependant, quand il n'est pas possible de parvenir à un consensus sur une recommandation finale, la recommandation finale du comité reflétera l'avis de la majorité.

Quelles informations sont accessibles au public pendant l'évaluation d'un nouveau médicament et une fois qu'une décision a été prise?

L'EMA applique un haut niveau de transparence sur ses évaluations de médicaments en publiant l'ordre du jour et les procès-verbaux des réunions, les rapports décrivant la façon dont le médicament a été évalué et les résultats d'études cliniques fournis par les développeurs de médicaments dans leurs demandes.

La [liste des nouveaux médicaments en cours d'évaluation](#) par le CHMP est disponible sur le site web de l'EMA et est mise à jour chaque mois.

L'EMA publie également les ordres du jour et les procès-verbaux de toutes les réunions de ses comités, avec des informations sur l'étape où en est l'évaluation.

Une fois qu'une décision a été prise quant à l'octroi ou au refus d'une autorisation de mise sur le marché, l'EMA publie un ensemble complet de documents appelé le rapport européen public d'évaluation (EPAR). Celui-ci inclut le rapport d'évaluation public du CHMP, qui décrit en détail les données examinées et la raison pour laquelle le CHMP a recommandé d'octroyer ou de refuser l'autorisation.

Pour les demandes reçues après le 1er janvier 2015, l'EMA publie également les résultats des études cliniques fournis par les développeurs de médicaments à l'appui de leurs demandes d'autorisation de mise sur le marché. Pour les demandes plus anciennes, les résultats des études cliniques peuvent être obtenus par une [demande d'accès aux documents](#).

Des informations détaillées sur les éléments publiés par l'EMA concernant les médicaments à usage humain et sur le moment où elle les publie, depuis les premiers développements jusqu'à l'évaluation initiale et aux changements post-autorisation, se trouvent dans le [guide des informations sur les médicaments à usage humain évalués par l'EMA](#).



Le saviez-vous?

En octobre 2018, l'EMA avait publié les résultats d'études cliniques fournis par les développeurs de médicaments dans leurs demandes pour plus de 100 médicaments récemment évalués par l'EMA. Ces résultats peuvent être consultés par le public sur le [site web de l'EMA consacré aux données cliniques](#).

5. Qui sommes-nous?

L'Agence européenne des médicaments (EMA) est une agence décentralisée de l'Union européenne, chargée de l'évaluation scientifique, de la surveillance et de la pharmacovigilance des médicaments développés par des entreprises pharmaceutiques en vue de leur utilisation dans l'UE.

L'EMA est dirigée par un conseil d'administration indépendant. Ses activités quotidiennes sont menées par son personnel, basé à Amsterdam, sous la conduite de son directeur exécutif.

L'EMA est une organisation reposant sur un travail en réseau, dont les activités font intervenir des milliers d'experts de toute l'Europe. Ces experts réalisent les travaux attribués aux comités scientifiques de l'EMA.

Conseil d'administration

Le [conseil d'administration](#) comprend 35 membres, nommés pour agir au nom de l'intérêt général et qui ne représentent aucun gouvernement, aucune organisation, ni aucune branche.

Le conseil d'administration établit le budget et approuve le programme de travail annuel de l'Agence. Il doit veiller à ce que l'Agence travaille avec efficacité et coopère avec succès avec les organisations partenaires dans l'ensemble de l'UE, et au-delà.

Pour plus d'informations, veuillez consulter la section 3.1.

Directeur exécutif

Le [directeur exécutif](#) de l'Agence est le représentant légal de l'Agence. Il est responsable de tous les aspects opérationnels, des questions liées au personnel et de l'établissement du programme de travail annuel.

Personnel de l'Agence

Le personnel de l'Agence assiste le directeur exécutif dans l'exercice de ses responsabilités, notamment en ce qui concerne les aspects administratifs et procéduraux de la législation de l'UE relative à l'évaluation et à la pharmacovigilance des médicaments dans l'UE.

[Organigramme de l'Agence européenne des médicaments](#)

Comités scientifiques

L'EMA compte sept comités [scientifiques](#) qui évaluent les médicaments tout au long de leur cycle de vie, qu'il s'agisse des premiers stades de développement du médicament, de l'autorisation de mise sur le marché ou de la pharmacovigilance après commercialisation.

L'Agence compte en outre plusieurs [groupes de travail et groupes connexes](#), que les comités peuvent consulter sur des questions scientifiques relatives à leur domaine d'expertise spécifique.

Ces organes sont composés d'[experts européens](#) mis à la disposition de l'EMA par les autorités nationales compétentes des [États membres de l'UE](#), qui collaborent étroitement avec l'Agence au sein du [réseau européen de réglementation des médicaments](#).

6. Conseil d'administration

Le conseil d'administration est l'organe de gouvernance intégrale de l'Agence européenne des médicaments. Il assume un rôle de surveillance et de responsabilité générale en ce qui concerne les questions de budget et de planification, la nomination du directeur exécutif et le suivi des performances de l'Agence.

Il a entre autres **tâches opérationnelles** l'adoption de règles d'application juridiquement contraignantes, la définition d'orientations stratégiques pour les réseaux scientifiques et l'établissement de rapports sur l'utilisation des contributions de l'UE aux activités de l'Agence.

Il détient un pouvoir réglementaire juridiquement contraignant concernant l'application de certaines parties du **règlement relatif aux taxes**. Il adopte le règlement financier de l'Agence et ses modalités d'exécution, qui constituent des textes à caractère contraignant pour l'Agence, le conseil d'administration et le directeur exécutif.

Il joue un rôle clef dans le processus de décharge sur l'exécution du **budget** de l'Agence par l'autorité budgétaire de l'Union européenne. Dans le cadre de ce processus, le conseil d'administration analyse et évalue le rapport d'activité annuel du directeur exécutif. Cette évaluation fait partie de l'ensemble de contrôles et de rapports qui permettent de donner décharge au directeur exécutif sur l'exécution du budget de l'Agence. Le conseil d'administration formule également un avis sur les comptes annuels de l'Agence.

Il entretient des liens étroits avec le **comptable** de l'Agence, qu'il nomme, et avec l'**auditeur interne**, qui lui présente, ainsi qu'au directeur exécutif, les résultats de ses audits.

Il est consulté au sujet du règlement intérieur et de la composition des [comités](#) de l'Agence.

Il est responsable de l'adoption des **modalités d'exécution** pour l'application pratique des règlements et réglementations applicables aux fonctionnaires et autres agents de l'UE.

Les tâches et responsabilités du conseil d'administration sont décrites dans le [cadre juridique](#) de l'Agence.

Composition

Les membres du conseil d'administration sont nommés sur la base de leur expertise en matière de gestion et, le cas échéant, de leur expérience dans le domaine des médicaments à usage humain ou vétérinaire. Ils sont sélectionnés pour garantir un niveau optimal de qualifications spécialisées, un vaste éventail de compétences pertinentes et la plus large couverture géographique possible dans l'UE.

Le conseil d'administration comprend les **membres** suivants:

- un représentant de chacun des États membres de l'UE;
- deux représentants de la Commission européenne;
- deux représentants du Parlement européen;
- deux représentants d'organisations de patients;
- un représentant d'organisations de médecins;
- un représentant d'organisations de vétérinaires.

Outre ses membres, le conseil d'administration compte un **observateur** de chacun de ces trois pays: Islande, Liechtenstein et Norvège.

Les représentants des États membres, de la Commission européenne et du Parlement européen sont directement nommés par l'État membre et l'institution concernés. Les quatre membres de la «société civile» (représentants des organisations de patients, de médecins et de vétérinaires) sont nommés par le Conseil de l'Union européenne, après consultation du Parlement européen.

Les représentants des États membres et de la Commission doivent avoir des suppléants.

Les membres du conseil d'administration sont nommés pour un mandat de trois ans renouvelable.

7. Comment nous travaillons

Afin de remplir sa mission, l'EMA collabore étroitement avec les autorités nationales compétentes au sein d'un réseau de réglementation. L'Agence applique également des politiques et des procédures afin de garantir qu'elle agit de manière indépendante, ouverte et transparente, et respecte les normes les plus strictes dans ses recommandations scientifiques.

L'EMA rassemble des experts scientifiques de toute l'Europe en travaillant en étroite collaboration avec les autorités réglementaires nationales des États membres de l'Union européenne, dans le cadre d'un partenariat dénommé «Réseau européen de réglementation des médicaments» (pour plus d'informations, voir le chapitre 5).

Ce réseau **regroupe des ressources et des compétences** dans l'UE et donne à l'EMA la possibilité de consulter des milliers d'[experts scientifiques européens](#) qui participent à la réglementation des médicaments.

Garantir l'**indépendance** de ses évaluations scientifiques constitue pour l'EMA une grande priorité. L'Agence veille à s'assurer que ses experts scientifiques, son personnel et les membres de son conseil d'administration n'ont pas d'[intérêts d'ordre financier ou d'un autre ordre](#) susceptibles de compromettre leur impartialité.

L'EMA s'efforce d'être aussi **ouverte et transparente** que possible concernant la façon dont elle élabore ses conclusions scientifiques. Les [rapports européens publics d'évaluation](#) de l'Agence décrivent la base scientifique sur laquelle reposent les recommandations de l'EMA sur tous les médicaments autorisés selon la procédure centralisée.

L'EMA publie également, dans un **langage accessible à tous**, de nombreuses informations sur ses travaux et les médicaments. Pour plus d'informations, veuillez consulter la page [Transparence](#).

L'Agence s'efforce en outre de publier des informations claires et actualisées sur son fonctionnement, dont des documents sur la **planification et l'établissement de rapports** ainsi que des informations sur le financement, la gestion financière et l'établissement des rapports budgétaires.

8. Réseau européen de réglementation des médicaments

Le système de réglementation des médicaments en Europe est unique au monde. Il repose sur un réseau de réglementation étroitement coordonné d'autorités nationales compétentes établies dans les États membres de l'EEE, qui collaborent avec l'EMA et la Commission européenne.

Le réseau européen de réglementation des médicaments constitue la pierre angulaire des travaux et des succès de l'EMA. L'Agence œuvre au cœur de ce réseau, en coordonnant et en soutenant les échanges entre plus de cinquante [autorités nationales compétentes](#) en matière de médicaments à usage humain et de médicaments à usage vétérinaire.

Des milliers d'[experts européens](#) issus de ces autorités nationales participent aux [comités scientifiques, groupes de travail et autres groupes](#) de l'EMA.

Ce réseau de réglementation comprend également la [Commission européenne](#), dont le rôle essentiel dans le cadre de ce système européen est de prendre des décisions contraignantes fondées sur les recommandations scientifiques formulées par l'EMA.

Grâce à cette coopération étroite, le réseau garantit que les médicaments autorisés dans l'ensemble de l'Union européenne sont sûrs, efficaces et de grande qualité et que les informations sur les médicaments fournies aux patients, aux professionnels des soins de santé et aux citoyens sont adéquates et cohérentes.

Avantages du réseau pour les citoyens de l'UE

- Le réseau permet aux États membres de l'UE de regrouper leurs ressources et de coordonner leurs travaux en vue de réglementer les médicaments de façon efficace et efficiente;
- il établit un cadre de certitudes pour les patients, les professionnels des soins de santé, l'industrie pharmaceutique et les gouvernements, en garantissant la mise en œuvre de normes cohérentes et l'utilisation de la meilleure expertise disponible;
- il réduit la charge administrative grâce à la procédure d'autorisation centralisée, ce qui permet aux médicaments de parvenir plus rapidement aux patients;
- il accélère l'échange d'informations sur des questions importantes, telles que la sécurité des médicaments.

Mise en commun de compétences

Le réseau européen de réglementation des médicaments donne à l'EMA la possibilité de contacter des experts originaires de tous les pays de l'UE, ce qui permet de rassembler les meilleures compétences scientifiques disponibles dans l'UE aux fins de la réglementation des médicaments.

La diversité des experts impliqués dans la réglementation des médicaments dans l'UE favorise l'échange de connaissances, d'idées et de meilleures pratiques entre scientifiques, afin d'établir des normes optimales en matière de réglementation des médicaments.

Ces experts européens sont membres de [comités scientifiques et de groupes de travail](#) de l'EMA, ou appartiennent aux équipes d'évaluation qui les soutiennent. Ils peuvent être nommés par les États membres ou l'Agence elle-même, et sont mis à disposition par les [autorités nationales compétentes](#).

L'Agence tient à jour une [liste d'experts européens](#), accessible au public et regroupant des informations sur tous les experts susceptibles de participer à ses travaux. Les experts ne peuvent intervenir qu'après évaluation par l'Agence de leur [déclaration d'intérêts](#).

Équipes d'évaluation multinationales

L'EMA et ses partenaires du réseau de réglementation gèrent un système permettant à des équipes multinationales d'évaluer les demandes concernant des médicaments à usage humain et vétérinaire. L'objectif est de **mobiliser les meilleures compétences** en matière d'évaluation des médicaments, quel que soit le lieu d'établissement des experts.

L'EMA encourage la formation d'équipes d'évaluation multinationales depuis 2013 pour les demandes **initiales d'autorisation de mise sur le marché**.

Ce concept permet aux rapporteurs et corapporteurs du comité scientifique de l'EMA d'inclure des experts en provenance d'autres États membres dans leurs équipes d'évaluation, ce qui contribue à optimiser l'utilisation des ressources au sein du réseau de réglementation et à encourager l'enrichissement transfrontalier des compétences scientifiques.

Le système concernait tout d'abord les équipes d'évaluation des corapporteurs pour les médicaments à usage humain (CHMP et CAT). Il s'est ensuite étendu aux équipes d'évaluation des rapporteurs, aux médicaments à usage vétérinaire (CVMP) et aux procédures d'avis scientifique.

Depuis avril 2017, les équipes multinationales peuvent également évaluer certaines demandes **post-autorisation** visant à étendre des autorisations de mise sur le marché existantes.

Mise en commun d'informations

L'EMA et les autorités nationales s'appuient sur des normes, des processus et des systèmes de technologies de l'information (TI), qui permettent aux pays européens de partager et d'analyser ensemble les informations importantes sur les médicaments.

Certaines données sont fournies par les États membres de l'UE et gérées de façon centralisée par l'EMA. Cette mise en commun permet l'échange d'informations sur diverses questions, y compris :

- le signalement des effets indésirables suspectés de certains médicaments;
- la surveillance des [essais cliniques](#);
- les inspections destinées à vérifier le respect des bonnes pratiques concernant [le développement clinique](#), [la fabrication et la distribution](#), ainsi que [la pharmacovigilance des médicaments](#).

Cela contribue à réduire la duplication des travaux et favorise la mise en place d'une réglementation effective et efficace des médicaments dans toute l'UE.

Pour plus d'informations sur les systèmes de TI gérés par l'EMA en collaboration avec les États membres de l'UE, veuillez consulter la rubrique [Stratégie de l'UE en matière de télématique](#).

9. Gestion des intérêts contradictoires

L'Agence européenne des médicaments (EMA) veille à s'assurer que ses experts scientifiques, son personnel et les membres de son conseil d'administration n'ont pas d'intérêts d'ordre financier ou d'un autre ordre susceptibles de compromettre leur impartialité. Elle a mis en place des politiques distinctes pour ces différents groupes.

Experts scientifiques

La [politique de l'Agence en matière de gestion des intérêts contradictoires de ses experts scientifiques](#), y compris les membres de comités, permet à l'Agence d'identifier les cas où la participation éventuelle d'un expert en tant que membre d'un comité, d'un groupe de travail ou d'un autre groupe ou à toutes

autres activités de l'Agence doit être **restreinte ou exclue** parce que celui-ci a des intérêts dans l'industrie pharmaceutique.

L'Agence examine attentivement la déclaration d'intérêts de chaque expert et attribue à chaque déclaration un niveau d'intérêts fondé sur l'absence ou l'existence d'intérêts chez l'expert concerné, et sur leur caractère direct ou indirect.

Après attribution d'un niveau d'intérêts, l'Agence utilise les informations fournies pour déterminer si la participation d'un expert aux activités spécifiques de l'Agence (telles que l'évaluation d'un médicament spécifique) devrait être restreinte ou exclue. Elle fonde ses décisions sur les éléments suivants:

- la nature des intérêts déclarés;
- la période écoulée depuis que ces intérêts existent;
- le type d'activité prévu pour l'expert.

La politique actuelle révisée reflète une approche équilibrée en matière de gestion des intérêts contradictoires, qui vise à restreindre de façon efficace la participation aux travaux de l'Agence d'experts sujets à d'éventuels intérêts contradictoires, tout en préservant la capacité pour l'EMA d'accéder aux meilleures compétences disponibles.

Elle comprend un certain nombre de **mesures** qui permettent de mieux tenir compte de la nature de l'intérêt déclaré avant détermination de la période durant laquelle une restriction pourrait s'appliquer:

- avoir occupé un rôle de direction dans le développement d'un médicament lors d'un emploi précédent au sein d'une entreprise pharmaceutique entraînera une **exclusion à vie** pour ce qui est de la participation à des activités concernant l'entreprise ou le produit considéré pendant toute la durée du mandat;
- pour la majorité des intérêts déclarés, une **période de carence de trois ans** est prévue. Les restrictions applicables en matière de participation diminuent avec le temps, distinction étant faite entre les intérêts actuels et les intérêts ayant existé au cours des trois dernières années;
- pour certains intérêts (tels que les intérêts financiers), comme précédemment, aucune **période de carence** n'est requise si l'intérêt concerné n'existe plus.

Les exigences concernant les experts membres de comités scientifiques sont plus strictes que celles qui s'appliquent aux experts participant à des organes consultatifs et à des groupes d'experts ad hoc. Parallèlement, les exigences applicables aux présidents et aux membres ayant un rôle de premier plan (rapporteurs par exemple) sont plus strictes que celles applicables aux autres membres de comités.

La politique révisée est entrée en vigueur le 30 janvier 2015. L'EMA a ensuite actualisé sa politique afin:

- de **restreindre la participation** des experts à l'évaluation des médicaments lorsque ceux-ci prévoient d'accepter un emploi dans l'industrie pharmaceutique, en mai 2015. Cette restriction figure dans le [document d'orientation](#).
- de **clarifier les restrictions** dans le cas où un expert accepte un emploi dans l'industrie et d'aligner les règles relatives aux parents proches de membres de comités et de groupes de travail sur celles qui s'appliquent aux membres du conseil d'administration, en octobre 2016.

La politique révisée tient compte des **contributions des parties prenantes** fournies lors de l'atelier public organisé par l'Agence en septembre 2013, intitulé «[Best expertise vs conflicts of interests: striking the right balance](#)» ([Expertise optimale et conflits d'intérêts: trouver le bon équilibre](#)).

Procédure d'abus de confiance

L'EMA a mis en place une procédure [d'abus de confiance](#), qui décrit la façon dont l'Agence traite les déclarations d'intérêts incorrectes ou incomplètes émanant d'experts ou de membres de comités.

En avril 2015, l'Agence a procédé à une mise à jour de la procédure dans le but de la rendre compatible avec la version actuelle de la politique relative à la gestion des intérêts contradictoires et de prendre en compte l'expérience acquise depuis son adoption initiale par le conseil d'administration de l'EMA en 2012.

Membres du personnel

Le code de conduite de l'Agence étend les exigences en matière d'impartialité et de soumission de déclarations d'intérêts annuelles à tous les membres du personnel de l'Agence.

Les nouveaux membres du personnel doivent **s'affranchir de tout intérêt** avant de pouvoir débiter leurs travaux à l'Agence.

Les déclarations d'intérêts complètes des membres du personnel sont disponibles à la rubrique [Structure de l'Agence](#). Toutes les autres déclarations d'intérêts sont disponibles sur demande.

En octobre 2016, le conseil d'administration a révisé les règles sur le traitement par l'Agence d'éventuels intérêts contradictoires impliquant des membres du personnel. Ces règles révisées sont similaires aux principes adoptés pour les membres de comités et les experts. Elles indiquent quels sont les intérêts admissibles ou non admissibles pour le personnel, et prévoient des contrôles concernant la nomination des personnes chargées de gérer l'évaluation des médicaments.

Membres du conseil d'administration

La [politique sur le traitement des intérêts contradictoires](#) et la [procédure d'abus de confiance](#) applicables aux membres du conseil d'administration sont cohérentes avec ces mêmes politique et procédure applicables aux experts et aux membres de comités scientifiques.

En décembre 2015, le conseil d'administration de l'EMA a adopté la version actuelle de la politique et de la procédure d'abus de confiance. Cette politique est entrée en vigueur le 1er mai 2016 et a, par la suite, été mise à jour en octobre 2016 afin de **clarifier les restrictions** relatives aux postes au sein des organes directeurs d'une organisation professionnelle et d'aligner les règles relatives aux subventions et à d'autres financements sur celles qui s'appliquent aux experts et aux membres de comités.

Tous les membres du conseil d'administration doivent, chaque année, soumettre une déclaration d'intérêts. Ces déclarations sont disponibles sur le site web de l'EMA à la rubrique [Membres du conseil d'administration](#).

Évaluation annuelle des politiques en matière d'indépendance

Depuis 2015, l'EMA réexamine chaque année toutes ses politiques en matière d'indépendance et ses règles de gestion des intérêts contradictoires ainsi que leur mise en place et publie un rapport annuel. Le rapport inclut les résultats des procédures d'abus de confiance, tous les contrôles menés, les initiatives prévues pour l'année suivante et des recommandations d'amélioration.