
Le Règlement européen relatif aux essais cliniques de médicaments



M^e Laurence HUIN

Avocate au Barreau de Paris

Contexte & ambition

- Annoncé par la Présidente von der Leyen dans les Priorités politiques 2024-2029
- COM(2025) 1022 adopté le 16 décembre 2025 : axé sur les biotechnologies de santé
- Objectif : faire de l'UE le premier marché mondial des sciences de la vie d'ici 2030

12 %

Part des essais cliniques commerciaux dans l'EEE en 2023

vs 22 % en 2013 : divisé par 2

113 j

Délai moyen d'autorisation essais multinationaux UE

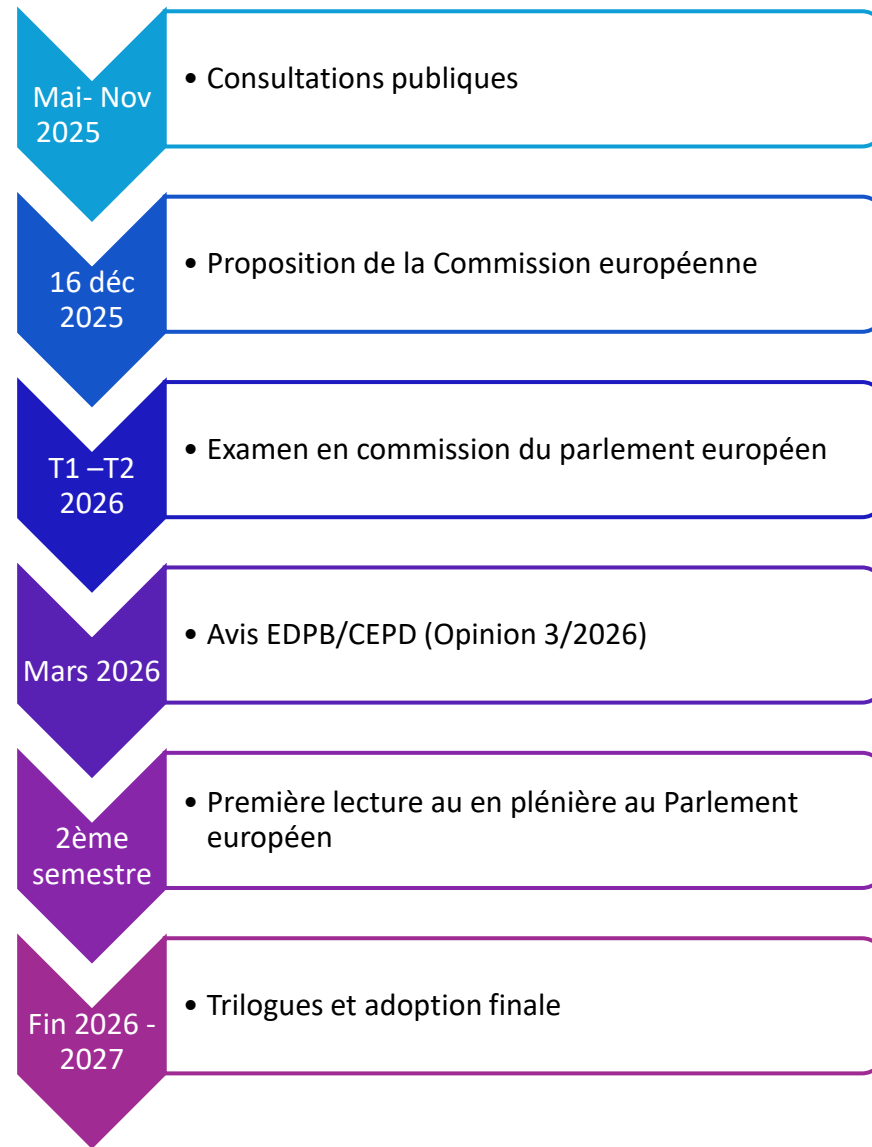
vs 60 j aux USA et en Chine

66 / 67

Start-ups biotech entrées en bourse hors UE (2019-2025)

Seule 1 sur 67 a choisi l'UE

🕒 Calendrier législatif



en cours

Low intervention clinical trial // Minimal intervention
clinical trial

LOW INTERVENTION CLINICAL TRIAL (LICT) // MINIMAL INTERVENTION CLINICAL TRIAL (MICT)

Les simplifications pour les essais cliniques à faible intervention seront renforcées par l'introduction d'une nouvelle catégorie d'essais cliniques à «intervention minimale».

LOW-INTERVENTION CLINICAL TRIAL

Version ORIGINALE (supprimée ✕)

Version MODIFIÉE (Biotech Act ✓)

MINIMAL-INTERVENTION CLINICAL TRIAL

NOUVEAU : Biotech Act 2025

*IMP autorisé
(hors placebos)*

IMP autorisé
(hors placebos) ← identique

IMP autorisé
(hors placebos) ← identique

MODIFIÉ

Usage fondé sur des preuves scientifiques publiées sur la sécurité et l'efficacité (suppression de la condition 'usage conforme à l'AMM')

Utilisé conformément aux termes de l'AMM
(conditions plus strictes que la LICT modifiée)

*(i) Conforme aux termes de l'AMM
OU
(ii) Usage fondé sur des preuves scientifiques publiées dans un État membre concerné*

Ne posent pas plus qu'un risque/charge supplémentaire minimal par rapport à la pratique clinique normale

Identique à l'ancienne version ← inchangé

Ne posent pas plus qu'un risque/charge supplémentaire minimal par rapport à la pratique clinique normale ← identique

Art. 3 Principes généraux (nouveau §3)

Les États membres tiennent compte du fait qu'un essai clinique est un essai à intervention minimale ou à faible intervention et, le cas échéant, adaptent les exigences réglementaires tout au long du cycle de vie de l'essai : notamment pour le dossier de demande, les procédures d'autorisation, les rapports de sécurité et la surveillance.

Différence clé : La LICT modifiée supprime l'usage conforme à l'AMM : la MICT l'exige.

La MICT est ainsi plus restrictive sur l'usage mais bénéficie d'un régime procédural encore plus allégé.

RÉGIME PROCÉDURAL SPÉCIFIQUE MICT et LICT

Art. 5a §2 : Désignation du Reporting MS pour la LICT

Art. 5a(2)

Pour une LICT, lorsque l'IMP est utilisé sur la base de preuves scientifiques publiées (hors AMM), le sponsor est tenu de proposer comme Reporting Member State l'un des États membres concernés dans lequel cet usage est fondé sur des preuves. Cette règle garantit que l'évaluation de l'essai est confiée à un **État membre ayant une expertise locale pertinente sur cet usage**.

Art. 6 §2a : Évaluation allégée de la Partie I pour les MICT

Art. 6(2a)

Principe général (Art. 6§2)

Le Reporting MS rédige un rapport d'évaluation de la Partie I. Le comité d'éthique du Reporting MS examine les aspects éthiques de la Partie I de la demande. Cet examen éthique complète l'évaluation scientifique et réglementaire.

Dérogation MICT : Art. 6§2a ★

pour les MICT, l'évaluation du Reporting MS est LIMITÉE à un examen éthique par son comité d'éthique des aspects visés aux points (a) et (d) du §1 (bénéfices thérapeutiques et exhaustivité de la brochure investigateur).

Suppression de l'évaluation réglementaire et scientifique complète.

Art. 6 §5a : Révision limitée par les autres ÉM dans la phase de revue (MICT)

Art. 6(5a)

Rappel du §5 : Procédure multinationale standard

Phase de revue : les autres ÉM concernés peuvent soulever des considérations sur deux motifs : (a) l'un des motifs de l'Art. 8(2), ou (b) des problèmes susceptibles de conduire à un avis négatif de leur comité d'éthique.

§5a : Restriction MICT ★

Pour les MICT, les autres ÉM concernés ne peuvent soulever des considérations lors de la phase de revue QUE sur des aspects ÉTHIQUES du rapport d'évaluation provisoire. Tout autre motif est exclu notamment les considérations scientifiques/réglementaires de la Partie I.

Art. 41 §5 : Régime allégé LICT / MICT en matière de safety

Dérogation LICT & MICT

Les obligations de notification des événements indésirables et des événements indésirables graves dans le cadre des **MICT** ou **LICT** doivent être **simplifiées grâce à l'application d'une approche fondée sur les risques**.
Toute adaptation de ce type doit être clairement mentionnée et justifiée dans le protocole par le promoteur

Prise en compte des 2 régimes : MICT et LICT

- Tracabilité, stockage et retour du médicament expérimental Art. 51
- Clinical Trial Master File art 57

Réduction des délais

DÉSIGNATION DE L'ÉTAT MEMBRE RAPPORTEUR · AUTOMATISATION VIA LE PORTAIL UE

Principe pour les essais cliniques multinationaux: 3 tous les États membres concernés, y compris l'État membre rapporteur, coopèrent de bonne foi et dans un esprit de confiance et de solidarité mutuelles. L'État membre rapporteur joue un rôle de premier plan dans les évaluations³.

La désignation du Reporting MS intervient automatiquement **DANS LES 3 JOURS SUIVANT LE DÉPÔT ('SUBMISSION DATE')** : nouveau délai court vs. 6 jours dans l'ancien Art. 5 + Le Portail UE (CTIS) gère automatiquement le processus de désignation selon les règles de l'Art. 5a(4).

Submission

Date

JO
Dépôt

 ÉM déclarent
 leur volonté

 Désignation auto
 par l'algorithme CTIS

 Portail UE notifie
 le Reporting MS

Art. 5a

§1 Essai mono-national

L'État membre unique est automatiquement le Reporting MS. Pas de procédure de désignation.

§3 Essai multinationaux Proposition acceptée

Si le sponsor propose un ÉM et que cet ÉM accepte → il devient Reporting MS.

§4a Proposition non-acceptée Un seul ÉM volontaire

Si un seul ÉM déclare sa volonté d'être Reporting MS → il est désigné automatiquement.

§4b Proposition non-acceptée Plusieurs ÉM ou aucun

Si >1 ÉM volontaire ou aucun → désignation automatique par l'algorithme du CTIS (selon recommandations du CTAG)

★ Nouveauté Art. 14a (Biotech Act) : Changement de Reporting MS en cours d'essai : cet article organise la procédure de remplacement du de l'EM rapporteur si l'EM rapporteur a refusé l'autorisation ou si l'essai n'est plus conduit dans cet ÉM. La nouvelle procédure permet la continuité des essais multinationaux sans recommencer la procédure ab initio.

COMPARATIF DES DÉLAIS GLOBAUX D'AUTORISATION

SUPPRIMÉ ★ : 50 jours supplémentaires ATMP

J0 : Submission Date

J3 : Désignation Reporting MS (Art. 5a)

→ 3 jours vs 6 jours (-3j)

J0→J7 : Validation Partie I (Art. 5b)

Reporting MS valide uniquement la Partie I → 7 jours (vs +10j)

Si demande info : +14j max

J0→J42 : Évaluation Partie I (Art. 6)

J0→ J28j pour **évaluation initiale**

J28→ J35: 7j pour la **phase de revue** (vs 12 jours)

J35→J42: 7j pour la **phase de consolidation** Le Reporting MS consolide les considérations et finalise le rapport et soumission au sponsor et aux autres ÉM

Si demande d'info : +28j max (vs +31j) avec 14j pour le sponsor (vs12 jours)

Suppression des 50j supplémentaires ATMP ★

= 42j (vs 45j) DEPUIS LA SUBMISSION DATE

J0→J42 : Évaluation Partie II (Art. 7)

42 jours (vs 45j) DEPUIS LA SUBMISSION DATE

Si demande d'info : +28j max (vs +31j) avec 14j pour le sponsor (vs12 jours)

J42→J47 : Décision (5 jours)

Sans demande info : 47 jours TOTAL (au lieu de 75) ✓

Avec demandes info max : 75 jours TOTAL (au lieu de 106)

Ancien Art. 6 §7 (supprimé) : « The reporting Member State may extend the period referred to in paragraph 4 by a further 50 days for clinical trials involving an advanced therapy investigational medicinal product... for the purpose of consulting with experts. »

Motivation : l'expertise scientifique et réglementaire en ATMP s'est considérablement développée depuis 2014 : EMA, comités nationaux, réseau ATMP. Les 50j supplémentaires ne se justifient plus.

Garde-fous : le Reporting MS peut toujours demander des informations complémentaires (+28j) : ce mécanisme suffit si une expertise spécifique est requise.

• **Art. 6 §2 nouveau** : le comité d'éthique du Reporting MS intègre la revue éthique des aspects de la Partie I dans l'évaluation du Reporting MS : elle complète l'évaluation scientifique et réglementaire.

Art. 6 §2a MICT : pour les essais à intervention minimale, l'évaluation du Reporting MS est LIMITÉE à la seule revue éthique par son comité d'éthique

Phase de revue :

Considérations limitées à : (a) motifs Art. 8(2), ou (b) problèmes entraînant avis négatif du comité d'éthique → C'est une limitation forte qui consacre l'autorité du Reporting MS sur le fond scientifique et réglementaire.

Pour les MICT : les autres ÉM ne peuvent soulever des considérations pendant la phase de revue QUE sur des aspects éthiques. Les autres ÉM n'ont aucun droit de regard sur les aspects scientifiques et réglementaires.

Infos complémentaires demandées par EM limitées et justifiées si la documentation est manquante ou inadéquate ou incomplète

Harmonisation optionnelle éthique: Dans les 28 jours, un ÉM concerné PEUT décider de s'appuyer sur la revue éthique du comité d'éthique du Reporting MS pour les éléments communs de la Partie II . Cela évite la double revue éthique. Option non-contraignante. → Le comité d'éthique du Reporting MS devient le pivot de la revue éthique de la Partie I : les autres ÉM n'ont plus vocation à dupliquer cette revue.

Investigational medicinal product core dossier

Investigational medicinal product core dossier

Un dossier unique de base pour les médicaments expérimentaux simplifiera les **essais cliniques utilisant le même médicament expérimental** et facilitera la conduite des essais d'enregistrement ainsi que la préparation des demandes d'autorisation de mise sur le marché en Europe.

Le Core Dossier permet au sponsor de consolider les informations sur l'IMP dans un **document unique évalué une fois**. Les essais cliniques correspondants peuvent ensuite y faire référence plutôt que de resoumettre ces informations. Cela crée un mécanisme de reconnaissance mutuelle des données IMP entre essais cliniques, tout en maintenant une supervision réglementaire adéquate via le Depository Member State.

Art. 2(38) IMP Core Dossier

Dossier contenant les documents visés au point (Ga) de la Partie II de l'Annexe I relatifs au médicament expérimental (IMP), établi à la demande du sponsor en vue de soutenir le développement de l'IMP.

Art. 2(39) Core Dossier Depository Member State

L'État membre responsable d'évaluer la pertinence et la complétude du Core Dossier à établir, et d'assurer la surveillance réglementaire d'un dossier déjà établi.

Art. 2(40) Core Dossier Competent Member States

Les États membres concernés par tous les essais cliniques correspondants, ainsi que les États membres indiqués par le sponsor au moment de la demande initiale d'établissement.

Art. 2(41) Corresponding Clinical Trial

L'essai clinique testé sur l'IMP pour lequel une demande d'établissement du Core Dossier a été soumise, ainsi que tout essai clinique ultérieur testé sur cet IMP.

Procédure d'établissement

1

Demande initiale du sponsor

Le sponsor soumet une demande d'établissement via le Portail UE. Il désigne un Depository Member State et indique les Competent Member States. La demande inclut les documents IMP de l'Annexe I, Partie II, point (Ga).

2

Évaluation par le Depository MS

Le Depository MS évalue la pertinence et la complétude du Core Dossier. Il consulte les Competent MS et notifie sa décision dans un délai encadré. En l'absence de réponse dans les délais → acceptation tacite.

3

Établissement & gestion continue

Une fois établi, le Core Dossier est géré sous la surveillance réglementaire du Depository MS. Le sponsor peut mettre à jour le dossier. Les mises à jour sont évaluées par le Depository MS et communiquées aux Competent MS.

4

Utilisation dans les essais correspondants

Les nouveaux essais cliniques testant le même IMP peuvent y faire référence dans leur dossier Partie I (Annexe I), évitant la re-soumission des données pharmaceutiques de l'IMP déjà évaluées.

Combined study

DÉFINITION & PÉRIMÈTRE

Art. 2(44)

'Combined study' means a clinical trial concerning one or more medicinal products combined with a performance study of one or more in vitro diagnostic medical devices, as defined in Article 2 point (42) of Regulation (EU) 2017/746 (IVDR) and/or clinical investigation of one or more medical devices as defined in Article 2 point (45) of Regulation (EU) 2017/745 (MDR).

Un guichet unique d'autorisation pour les études combinant essai clinique de médicament et étude de dispositifs médicaux ou de DM-DIV, Un processus d'évaluation unique sera défini pour les études combinées impliquant l'investigation d'un médicament en association avec un dispositif médical ou un dispositif de diagnostic in vitro.

Dossier unique

Par dérogation à l'Art. 5 CTR : une seule demande d'autorisation pour l'ensemble de l'étude combinée

Évaluation coordonnée

Procédure d'évaluation coordonnée dirigée par un Reporting MS désigné parmi les ÉM concernés

Composantes d'une Combined Study : trois combinaisons

CT (CTR) + Étude performance DM-DIV (IVDR)
Ex. : médicament ciblé + biomarqueur compagnon diagnostique

CT (CTR) + Investigation clinique DM (MDR)
Ex. : médicament + dispositif médical thérapeutique ou de monitoring

CT (CTR) + Étude DM-DIV (IVDR) + Investigation DM (MDR)
Ex. : médicament + biomarqueur + dispositif de délivrance ou monitoring

Consid. 135

Les études combinées associant médicaments et dispositifs sont essentielles pour le développement de la médecine de précision et de la médecine personnalisée. Le Biotech Act crée un cadre juridique permettant une autorisation unique pour éviter la fragmentation et les délais liés à des procédures parallèles sous trois règlements distincts.

PROCÉDURE D'AUTORISATION

Le CTIS devra gérer simultanément les dossiers CTR, IVDR et MDR dans un workflow unifié. Les autorités compétentes médicaments et dispositifs devront avoir accès aux mêmes données.

Procédure en 5 étapes clés

1

Champ d'application (§1)

S'applique aux études combinées incluant une étude de performance DM-DIV soumise à Art. 58(1) IVDR et/ou une investigation clinique DM soumise à Art. 62 MDR.

2

Dossier unique : dérogation à l'Art. 5 (§2)

Par dérogation à l'Art. 5 CTR : le sponsor peut soumettre une SEULE demande d'autorisation via le Portail UE pour l'ensemble de l'étude combinée dans un ou plusieurs ÉM.

3

Sponsor coordinateur (§3)

La demande unique est soumise électroniquement via le Portail UE à tous les ÉM concernés. Si l'étude combinée a plusieurs sponsors, ils désignent un sponsor coordinateur.

4

Reporting MS & évaluation coordonnée (§4)

Les ÉM concernés évaluent la demande unique par une procédure d'évaluation coordonnée dirigée par un Reporting MS choisi parmi eux. Si un seul ÉM concerné, ce dernier est le Reporting MS.

5

Motifs de considérations limités (§5)

L'évaluation coordonnée inclut les autorités compétentes et les comités d'éthique. Les ÉM concernés ne peuvent soulever des considérations QUE sur : (a) les motifs de l'Art. 14a(5) CTR, Art. 78(8) IVDR ou Art. 74(8) MDR ; OU (b) des problèmes entraînant un avis négatif du comité d'éthique.

Décision & désaccord (§6–§8)

§6

Conclusion du Reporting MS : présomption d'accord

Si l'ÉM Reporting conclut que l'étude est acceptable, cette conclusion vaut pour TOUS les ÉM. Un ÉM peut s'opposer uniquement si : (a) traitement inférieur à la pratique normale ; (b) violation du droit national ; (c) motifs spécifiques DM/DM-DIV (Art. 78(8) IVDR ou Art. 74(8) MDR) : sous réserve que la considération ait été préalablement soulevée.

§7

Procédure de désaccord

L'ÉM en désaccord communique son opposition MOTIVÉE via le Portail UE à la Commission, à tous les autres ÉM concernés, et au sponsor coordinateur.

§8

Décision unique par ÉM concerné

Chaque ÉM concerné émet UNE SEULE décision : autorisation, autorisation sous conditions, ou refus : et notifie le sponsor coordinateur.

La Commission est habilitée à adopter **des actes délégués** (Art. 89 CTR) pour modifier ou compléter les Chapitres II à V, VII, XIII, XIV et XVI ainsi que les Articles 71 et 72, afin de :

- Permettre une procédure simplifiée pour les demandes initiales de Combined Studies, y compris l'évaluation coordonnée des modifications substantielles et des ajouts d'ÉM concernés
- Définir les exigences applicables pendant la conduite des Combined Studies, notamment les exigences spécifiques en matière de déclaration de sécurité
- Déterminer les fonctionnalités du Portail UE et de la base de données UE nécessaires pour l'application de cet Article

Sandbox and AI

DÉFINITIONS

L'adoption des systèmes d'IA et de la numérisation dans les essais cliniques est encouragée. Des «sandboxes» pour les essais cliniques seront créés afin de tester des approches innovantes.

Deux nouvelles définitions (Art. 2)

Art. 2(45) 'Regulatory Sandbox'

Cadre réglementaire permettant le développement et le test d'approches réglementaires innovantes ou adaptées dans un **environnement contrôlé**, conformément à un **plan spécifique**, pour une **durée limitée** et sous **supervision réglementaire**.

Objectif : permettre des approches innovantes pour l'autorisation et la conduite d'essais cliniques qui ne seraient pas **possibles ou appropriées** dans le cadre juridique actuel.

Art. 2(46) 'AI System' : par renvoi à l'AI Act

Système d'IA au sens de l'Article 3(1) du Règlement (UE) 2024/1689 (AI Act) du 13 juin 2024.

Implication : le CTR modifié utilise la même définition que l'AI Act

Considérant 149

Consid. 149

Problème identifié

► Innovation méthodologique rapide

Les essais cliniques font face à des innovations méthodologiques rapides (adaptive designs, IA, décentralisation, données du monde réel) que le cadre réglementaire actuel du CTR ne peut pas accommoder de façon adéquate sans créer de vide juridique ou bloquer l'innovation.

► Inadaptation du cadre actuel

Le CTR a été conçu pour des essais conventionnels. Certaines approches novatrices : comme l'utilisation de modèles IA pour remplacer certains bras de contrôle ou l'intégration de données EHDS dans un protocole : ne trouvent pas de base réglementaire claire.

► Solution : le Regulatory Sandbox

Le Regulatory Sandbox CTR est créé pour permettre aux sponsors et aux autorités d'explorer et de tester des approches réglementaires innovantes dans un cadre contrôlé, sans exiger une modification du règlement pour chaque nouvelle approche. Il constitue un outil d'apprentissage réglementaire.

► Articulation avec l'AI Act

Le Considérant 149 reconnaît explicitement le rôle de l'IA comme vecteur d'innovation dans les essais cliniques, et la nécessité d'articuler le cadre CTR avec l'AI Act : d'où les définitions Art. 2(45) et Art. 2(46) et le Chapitre IVb.

REGULATORY SANDBOXES POUR LES ESSAIS CLINIQUES

L'Article 27d introduit le cadre juridique des Regulatory Sandboxes dans le CTR : un mécanisme expérimental permettant de tester des approches innovantes d'autorisation et de conduite des essais cliniques dans un environnement contrôlé et sous supervision réglementaire, pour une durée limitée.

§ 1-2-6 Création par la Commission

La Commission peut établir et gérer un Regulatory Sandbox au niveau de l'Union
Cadre contrôlé et limité dans le temps

Objectif : tester en conditions réelles des approches innovantes pour les essais cliniques pour lesquels l'application intégrale de certaines exigences du CTR n'est pas possible ou appropriée
Avant toute création de Sandbox, la Commission doit solliciter un avis du CTAG (Clinical Trials Advisory Group)

Articulation avec l'AI Act

Le Sandbox peut couvrir les approches d'autorisation et de conduite des essais cliniques
Coordination possible avec les sandboxes réglementaires créés sous le Règlement IA
Implique la pleine participation des autorités compétentes qui supervisent le sandbox IA, selon les règles applicables à ces sandboxes IA

§ 3 Conditions d'éligibilité & plan de Sandbox

.Les activités se déroulent selon un plan spécifique, pour des essais éligibles, sous supervision réglementaire renforcée des EM concernés

Le plan doit identifier précisément les exigences du CTR temporairement adaptées ou levées, pouvant porter sur :

- les exigences de données source et de documentation
- les procédures de recrutement et de consentement éclairé
- les exigences de monitoring et de reporting
- les règles de conception de l'essai (trial design)
- les règles de gestion des médicaments expérimentaux
- les règles de déclaration de sécurité
- les exigences relatives aux sites

Le plan identifie aussi les rôles et responsabilités des sponsors, investigateurs et fabricants

§ 3 Conditions cumulatives d'établissement

- (a) Il est impossible d'autoriser ou de conduire l'essai en pleine conformité avec le CTR, en raison d'approches innovantes ou de la spécificité de l'IMP
- (b) Les approches doivent contribuer à au moins un des objectifs suivants :
 - (i) accroître la robustesse des données générées
 - (ii) réduire significativement la durée de l'essai et accroître son efficacité
 - (iii) permettre de nouvelles technologies et approches dans le développement de médicaments, avec un potentiel d'amélioration distincte de la prévention, du diagnostic, du traitement, de l'adhésion thérapeutique ou de l'efficacité des soins
- (c) Le Sandbox doit offrir des garanties assurant la sécurité, le bien-être et les droits fondamentaux des participants, la robustesse des données et l'intégrité des essais

USE OF ARTIFICIAL INTELLIGENCE IN CLINICAL TRIALS

L'Article 27e est le premier cadre réglementaire spécifique à l'IA dans les essais cliniques au sein du CTR. Il pose quatre obligations distinctes : évaluation des risques/bénéfices IA (§1), information au protocole (§2), articulation avec les Combined Studies IA (§3), et développement de lignes directrices par l'EMA (§4).

§ 1 Évaluation bénéfices / risques IA

« For those clinical trials where the sponsor plans to use AI models or systems, the sponsor shall evaluate the benefits and risks related to patient safety and data robustness of the use of the AI in the context of a specific clinical trial for a specific purpose, taking into account the guidelines laid down in Article 37 of Regulation [...] [Biotech Act]. »

- **Champ** : Uniquement les essais où le sponsor prévoit d'utiliser des modèles ou systèmes d'IA (Art. 2(46)).
- **Finalité spécifique** : l'évaluation est propre à chaque essai ET à chaque usage particulier de l'IA dans cet essai.

§ 3 Combined Studies : DM-IA & DM-DIV-IA

« When the investigation of a medicinal product in a clinical trial is combined with a performance study of an AI in vitro diagnostic medical device or a clinical investigation of an AI medical device, the provisions of Article 14 on coordinated assessment for authorising combined studies shall apply»

- **Renvoi à l'Art. 14c** : la procédure Combined Study (dossier unique, Reporting MS, évaluation coordonnée) s'applique pleinement : même si le DM intègre de l'IA.
- **Pas de procédure supplémentaire** : la qualification 'IA' du DM ne crée pas de couche réglementaire additionnelle. Art. 14c suffit.

§ 2 Informations obligatoires au protocole

« The sponsor shall provide information in the protocol on the specific purpose of the use of AI models or systems and the description of the process in the context of the specific clinical trial. »

- **Deux informations** : (1) finalité spécifique de l'usage de l'IA ; (2) description du processus IA dans le contexte de l'essai.
- **Dans le protocole** : évaluées par le Reporting MS en Partie I (Art. 6) : font partie du dossier d'autorisation.
- **Modification substantielle** : tout changement d'usage ou de processus IA en cours d'essai = probable modification substantielle (Art. 2(13)).

§ 4 Lignes directrices EMA : Gouvernance plurilatérale

« In cooperation with the CTAG and, where appropriate, the Medical Device Coordination Group, the Artificial Intelligence Board, the Agency shall develop guidelines referred to in paragraph 1 of this Article. »

EMA

Chef de file : responsable du développement des guidelines IA pour les essais cliniques (pilote)

CTAG

Clinical Trials Advisory Group : groupe consultatif expert des essais cliniques, co-constructeur des guidelines

MDCG

Medical Device Coordination Group : impliqué 'le cas échéant', notamment pour les Combined Studies IA avec DM

AI Board

Artificial Intelligence Board (créé par l'AI Act, Art. 65) : apporte l'expertise IA réglementaire transversale

Dématérialisation des EC

E-consent

Art. 2(21)

Art. 2(42)

Art. 2(43)

“Informed consent” reprise + y compris le consentement donné par le biais de systèmes, de méthodes et de processus électroniques, et signé électroniquement conformément au droit de l'Union ou à des normes équivalentes

«Distribution»: l'ensemble des activités consistant à se procurer, détenir, fournir, expédier entre États membres ou exporter des médicaments expérimentaux ou des produits médicaux auxiliaires, y compris la remise de médicaments expérimentaux et de produits médicaux auxiliaires aux participants à l'essai clinique;

«Remise directe au sujet»: la remise directe, contrôlée et documentée, d'un médicament expérimental ou d'un produit médical auxiliaire au lieu de résidence du sujet dans un État membre où l'essai clinique a été autorisé

Art. 29

La communication dans le cadre d'un entretien entre l'investigateur et le sujet, ou entre l'investigateur et le sujet et son représentant légal, selon le cas, peut s'effectuer à distance par des moyens électroniques.

Le compte rendu de la procédure de consentement éclairé peut se présenter sous forme électronique et doit être signé au moyen d'un dispositif d'identification électronique conforme au règlement EIDAS ou des normes équivalentes

Fourniture de médicaments expérimentaux et de médicaments auxiliaires par l'intermédiaire d'une pharmacie, d'une personne habilitée ou directement au sujet

Art. 50 a)

NEW

Lorsque le protocole le justifie, la **fourniture** de médicaments expérimentaux et de médicaments auxiliaires aux sujets participant à l'essai clinique peut être assurée **à distance sous la supervision de l'investigateur**.

Dans le cas d'un essai clinique à intervention minimale ou à faible intervention, la distribution des médicaments expérimentaux peut être assurée dans un État membre où l'essai clinique a été autorisé, sous la responsabilité de l'investigateur, **par l'intermédiaire de pharmacies ou par des personnes autorisées à fournir des médicaments** au sujet.

Le protocole et le dossier de l'investigateur décrivent les modalités de livraison directe aux participants ou par l'intermédiaire de pharmacies ou de personnes autorisées à fournir des substances aux patients, y compris les rôles et responsabilités de toutes les parties concernées et les procédures de manipulation et de stockage en toute sécurité.

La livraison directe aux participants est conforme aux lignes directrices visées à l'article 63 bis, paragraphe 1.

NEW

Art. 63 a

La distribution des médicaments expérimentaux doit être conforme à des normes garantissant leur qualité et leur intégrité. La Commission adopte des **actes délégués** complétant le présent règlement en définissant les normes de bonnes pratiques de distribution applicables aux médicaments expérimentaux et aux médicaments auxiliaires, en tenant compte des contributions des groupes de travail chargés des inspections visés à l'article 142, point k), du règlement (UE) .../... du Parlement européen et du Conseil [référence à ajouter après adoption, cf.COM(2023) 193 final], et les met à jour si nécessaire pour tenir compte des progrès scientifiques et techniques.

Lorsque l'autorité compétente de l'État membre le juge nécessaire, en particulier lorsqu'il existe des motifs de soupçonner un non-respect des exigences du présent article, elle peut procéder à des **inspections** afin de vérifier la conformité.

Les dispositions relatives aux inspections visées à l'article 63, paragraphe 1, s'appliquent mutatis mutandis aux inspections des bonnes pratiques de distribution des médicaments expérimentaux et auxiliaires

Données personnelles

La base juridique pour le traitement des données à caractère personnel dans les essais cliniques conformément au règlement (UE) 2016/679 sera harmonisée.

L'Art. 93 §1 et §2 dressent la liste exhaustive des finalités pour lesquelles sponsors et investigateurs sont autorisés à traiter des données à caractère personnel, y compris des données génétiques ou de santé (catégories spéciales, Art. 9 RGPD). Ces finalités constituent la base légale du traitement dans le cadre du CTR.

Les **PROMOTEURS** sont tenus de traiter les données à caractère personnel y compris des données génétiques ou des données concernant la santé aux fins suivantes :

§ 1

- la soumission des demandes conformément aux articles 5, 11, 14 et 16 ;
- la réalisation d'activités de recherche dans le cadre d'un essai clinique, conformément au protocole autorisé par les autorités nationales compétentes en application du point D de la partie I de l'annexe I ;
- l'exécution des activités de sécurité et de déclaration conformément aux articles 41 à 43 et 52 à 54 ;
- l'enregistrement, le traitement, la gestion et la conservation des informations conformément à l'article 56 ;
- l'archivage conformément à l'article 58 ;
- la soumission au portail de l'Union européenne du résumé des résultats de l'essai clinique, du résumé destiné au grand public, du rapport d'étude clinique et, le cas échéant, des données brutes, conformément à l'article 37, paragraphe 4.

Les **INVESTIGATEURS** sont tenus de traiter des données à caractère personnel, y compris des données génétiques ou des données concernant la santé, aux fins suivantes :

§ 2

- la réalisation d'activités de recherche dans le cadre d'un essai clinique, conformément au protocole autorisé par les autorités nationales compétentes en application du point D de la partie I de l'annexe I ;
- l'exécution des obligations de déclaration en matière de sécurité conformément aux articles 41 et 54
- l'enregistrement, le traitement, la gestion et la conservation des informations conformément à l'article 56 ;
- l'archivage conformément à l'article 58.

§ 4

« Pour l'évaluation du traitement conduisant à l'autorisation des demandes d'essais cliniques et des opérations visées au présent article, les promoteurs et les investigateurs sont des responsables du traitement au sens de l'article 4, paragraphe 7, du règlement (UE) 2016/679

A l'article 28 sur les règles générales sur la protection des participants :
Suppression de la référence à la directive de 1995 + notion de consentement
au traitement des données

La base juridique pour le traitement des données à caractère personnel dans les essais cliniques conformément au règlement (UE) 2016/679 sera harmonisée.

Destinataires

§ 3

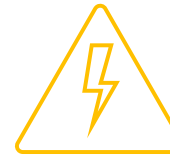
Sponsors et investigateurs mettent les données personnelles (y compris génétiques et de santé) à disposition :

- des autorités compétentes des États membres dans le cadre des activités de surveillance et d'inspection conduites en vertu de l'Art. 78
- de la Commission européenne dans le cadre des contrôles qu'elle réalise en vertu de l'Art. 79 (contrôles de la Commission dans les ÉM sur l'application du CTR)

Durée

§ 5

Les données à caractère personnel, y compris les données génétiques ou les données relatives à la santé, sont conservées aussi longtemps que nécessaire conformément à l'article 58 : : 25 ans après la fin de l'essai (standard). Réduit à 5 ans pour les LICT et MICT (Art. 76(3) Biotech act)



La fin des exceptions nationales en matière de données de santé lors d'essai clinique

Réutilisation des données

Les données à caractère personnel collectées et traitées conformément au présent règlement peuvent être traitées ultérieurement par le même responsable du traitement aux fins d'autres essais cliniques menés en vertu du présent règlement, ou à des fins de recherche scientifique visant à protéger la santé publique, à améliorer la qualité des soins et à renforcer la capacité d'innovation de la recherche médicale européenne.

- **Même contrôleur** : seul le contrôleur ayant initialement collecté les données peut les réutiliser : pas de transmission à un tiers pour réutilisation directe sous cet article.
- **Trois finalités de réutilisation** : (1) autres essais cliniques sous le CTR ; (2) recherche scientifique pour la santé publique ; (3) amélioration des soins standard et renforcement de l'innovation médicale européenne.
- Le droit positif l'autorise déjà en partie !
- **l'EDPB (avis 2026)** a alerté sur les risques de réutilisation des données génétiques sans consentement explicite pour chaque nouvelle finalité.

« Par dérogation à l'article 9, paragraphe 4, du règlement (UE) 2016/679, les États membres ne peuvent maintenir ou introduire d'autres conditions, y compris des limitations, en ce qui concerne le traitement des données à caractère personnel, y compris les données génétiques ou les données relatives à la santé dans le cadre d'essais cliniques réalisés conformément au présent règlement. »

Vers la fin des MR? Règlement européen > loi française

- **Position EDPB (avis 2026)** : préoccupations exprimées : l'EDPB demande que des garanties spécifiques soient maintenues et que la base juridique du traitement reste claire dans les sandboxes réglementaires.

Diversité dans l'inclusion

« Lorsque les sujets potentiels d'un essai clinique appartiennent à des **populations vulnérables**, les États membres concernés et les promoteurs doivent examiner et mettre en balance les risques et les avantages de leur inclusion par rapport à leur exclusion d'un essai clinique. Les États membres concernés et les promoteurs doivent notamment évaluer si l'exclusion de ces sujets d'un essai clinique pourrait involontairement perpétuer ou aggraver leurs vulnérabilités, en particulier en ce qui concerne leurs besoins spécifiques en matière de santé ».

+Les **femmes qui tombent enceintes** ou commencent à allaiter pendant leur participation à un essai clinique ne doivent **pas être automatiquement exclues de cet essai**

EHDS: Un dossier de demande d'autorisation d'un essai clinique ou d'une modification substantielle peut s'appuyer sur des données de santé obtenues en vertu du chapitre IV du règlement (UE) n° 2025/327 EHDS