

Hazai és nemzetközi regulátoros gyakorlat Hogyan segíthető a hozzáférés?

Dr. Sobor Melinda

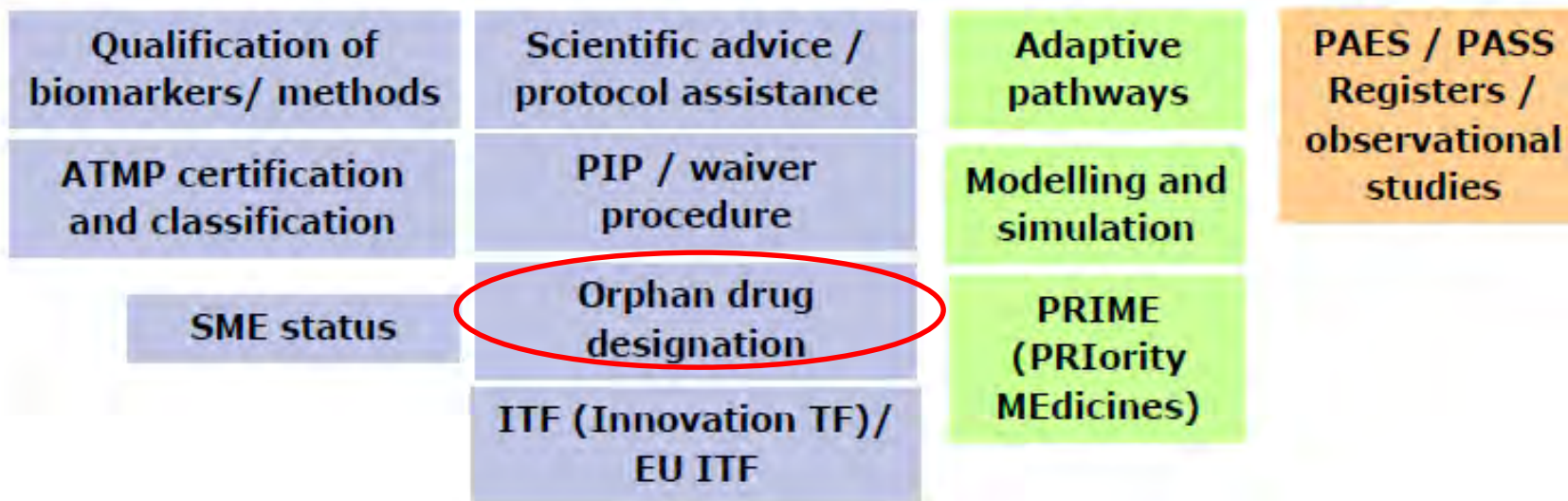
EMA COMP

EMA CHMP

OGYÉI Orvosbiológiai Osztály

(Some) EMA/Network initiatives supporting innovation

From discovery to clinical development to MAA and beyond



OGYÉI

Országos Gyógyszerészeti és
Élelmezés-egészségügyi Intézet

A dia az „EU Network regulatory awareness session on EMA’s Role in supporting Innovation” webinaron került bemutatásra

Committee of Orphan Medicinal Products (COMP) -minősítés

FDA

információmegosztás:
rendszeres TC-k
közös folyamatok: pl.
Gaucher

EMA COMP

MINŐSÍTÉS KRITÉRIUMOK:

életet veszélyeztető vagy súlyosan
egészségkárosító állapot

prevalencia: <5/10 000 EU

nincs elfogadott terápia ill. ha van,
jelentős kedvező hatást
eredményezhet a kérelmezett új
kezelés

EURORDIS

Japán

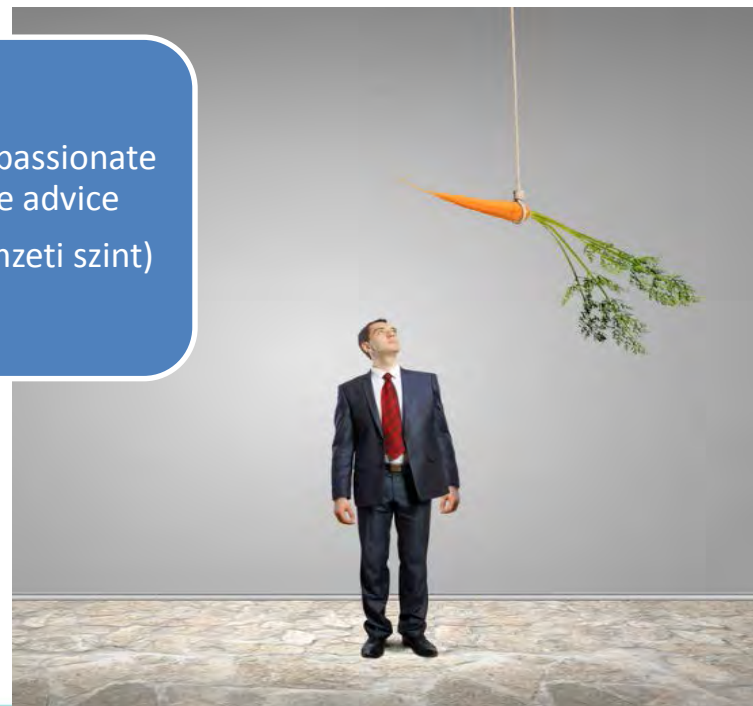
Committee of Orphan Medicinal Products (COMP) -ösztönzők

Protocol assistance
(SAWP+COMP,
díjcsökkentés:
75%: non SME,
100% SME)

EU Forg. Eng.
(Centralizált
eljárás)
(Díjcsökkentés,
+különleges
engedélyezési
eljárások)

10 év piaci
kizárólagosság
(+2 év, ha
befejezték PIP-t)

Compassionate
use advice
(Nemzeti szint)



Ha SME: majdnem minden ingyenes



OGYÉI

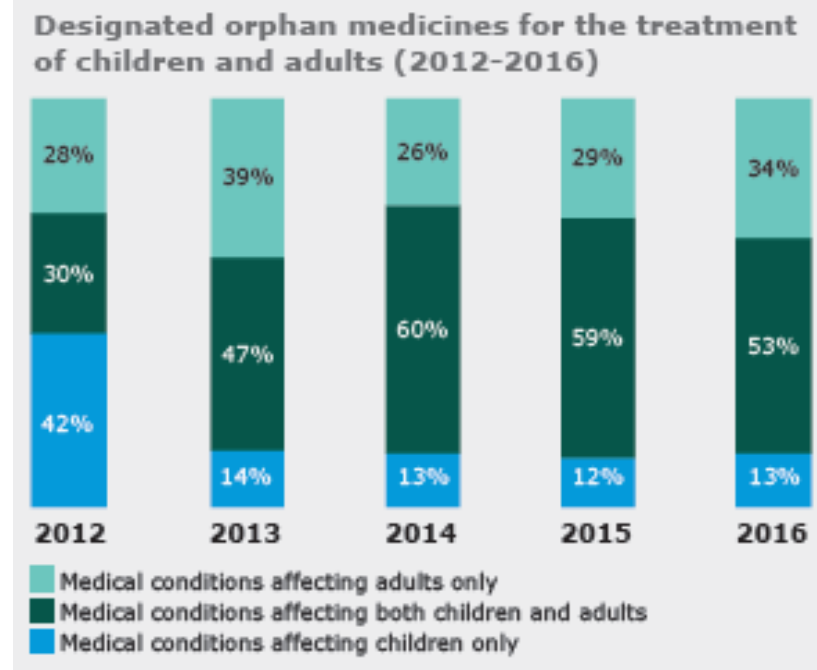
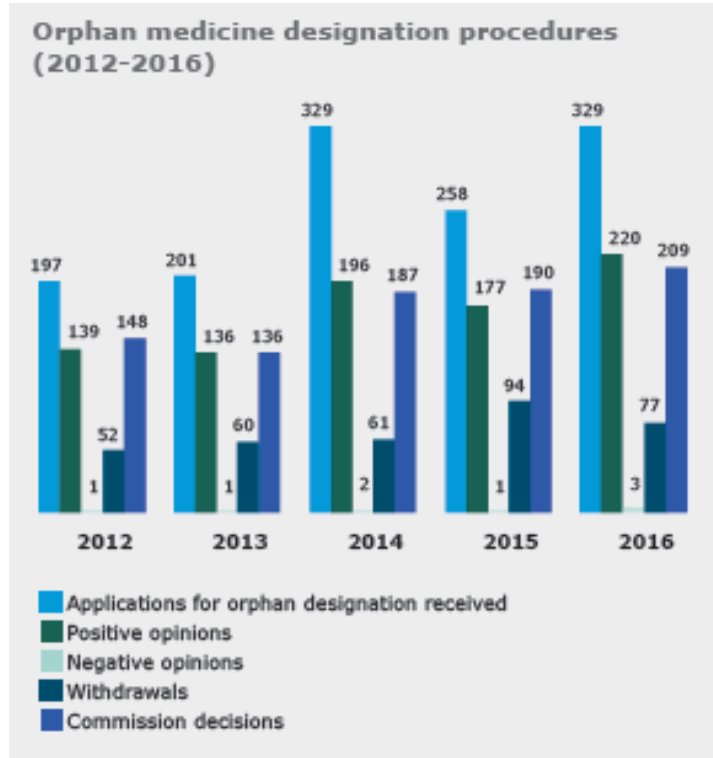
Országos Gyógyszerészeti és
Élelmezés-egészségügyi Intézet

SAWP: A Humán Gyógyszerbizottság Tudományos Tanácsadási Munkacsoportja

PIP: Gyermekgyógyászati Vizsgálati Terv

SME: kis- és közepméretű vállalat

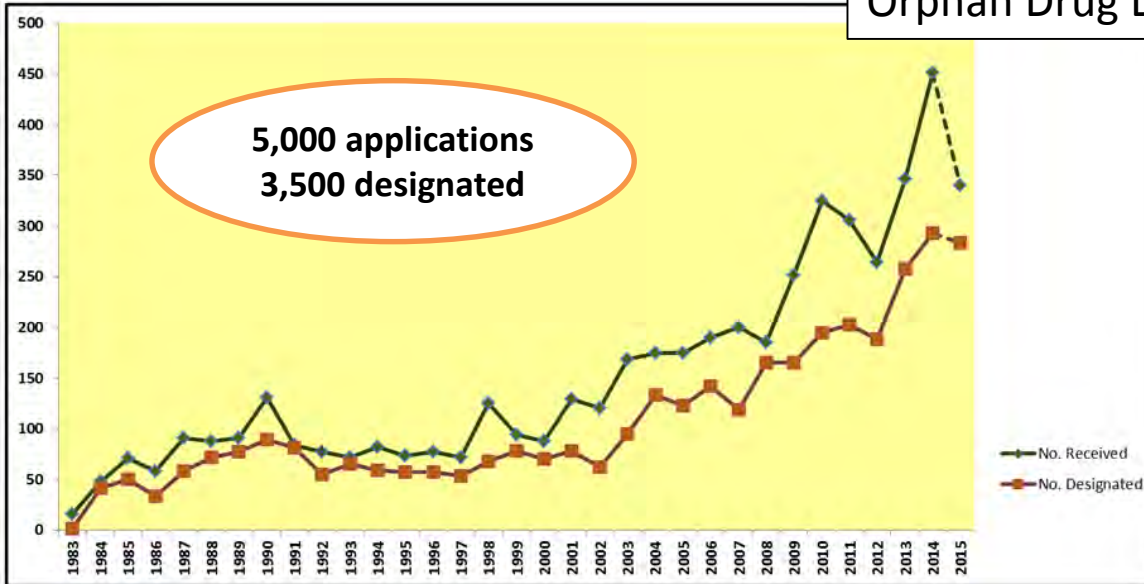
Ritka statisztikák -EMA



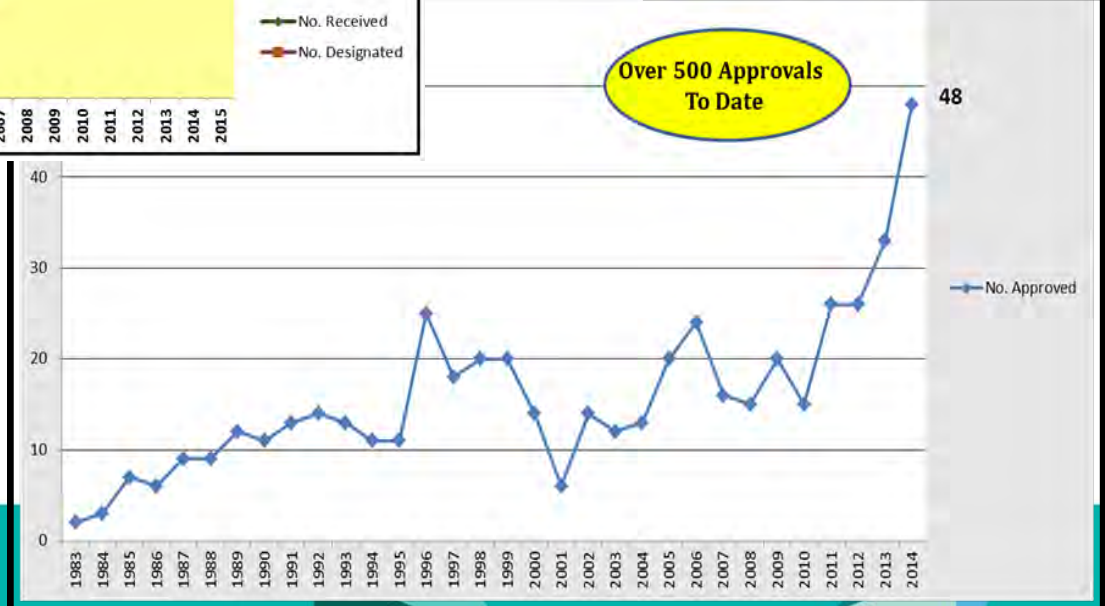
Fejlesztésben: N>1690 minősített ritka; engedélyezett ritka: N=121 (2016).

Ritka statisztikák -FDA

Orphan Drug Designations - increasing



Orphan Drug Approvals



Minősített „ritka gyógyszerek”

EU: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/orphan_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d12b

US: <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>

- tamoxifen- cisztikus fibrosis, Duchenne
- diazoxid: Prader-Willi
- ASA: polycythaemia vera
- ...etc....

régi hatóanyag
- új terület

- mAb, (onkológia, de gyulladásos kórképek, egyes infekciók, neuromuscularis bet., gerincvelő-sérülés)
- ...etc....

mAb

- kináz-gátlók: haemato-onkológia
- exon-skipping: Duchenne
- ...etc....

új kismolekulák

- génterápiák (AAV: haemophyllia, szemészet, muscularis, metabolikus
- CRISPR-cas9
- (genetikailag módosított) sejt-és szövetterápiák

ATMPs (fejlett terápiai készítmények)

Hazai gyakorlat: hogyan segíthet a hatóság?

- Tudományos tanácsadás: Innovációs Irodán keresztül, OGYÉI értékelő háttérrel <https://innovacio.ogyei.gov.hu/> (pl. sikeres orphan designation benyújtása)
 - korai fejlesztési tanácsadás https://www.ogyei.gov.hu/kerdesek_es_valaszok/
- Együttérző alkalmazás: https://www.ogyei.gov.hu/engedelyezes_elotti_gyogyszeralkalmazas/
- Egyedi gyógyszerigénylés: https://www.ogyei.gov.hu/egyedi_gyogyszerigenyles/
- Indikáción túli rendelés: https://www.ogyei.gov.hu/indikacion_tuli_gyogyszerrendeles/



Off-label engedélyezés, jelenlegi hazai gyakorlat

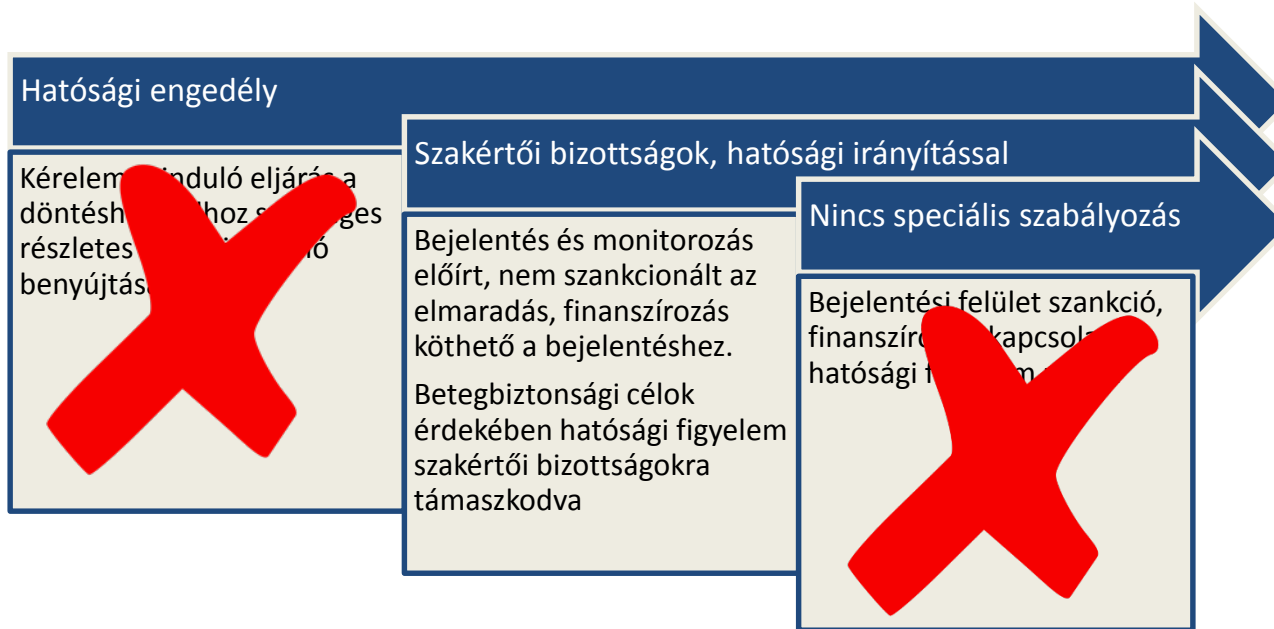
- A kérelemhez benyújtandó:

- Beteg beleegyező nyilatkozata
- Orvos nyilatkozata (riport)
- Indikáció indokltsága:

mellőzhető, ha szerepel besorolt/kihirdetett protokollban
vagy
ua. gyógyszer ua. javallatra kapott off-label engedélyt

- ***a klinikai vizsgálatokról szóló közlemények***
 - **a gyógyszerrel történt kezeléssel kapcsolatos szakmai folyóiratban közzétett közlemények**
 - **a hazai, illetve nemzetközi ajánlások**
- OGYÉI bírál el
 - OGYÉI ad ki határozatot, 3 / 21 nap

Off-label use szabályozás változásai, OGYÉI javaslata



Javasolt új beadás

- EESZT-hez kapcsolt felhasználóbarát felület – bejelentés!
- beteg: tájékozott beleegyezés, unmet need (változatlan)
- sürgősség: bejelentés megtehető a sürgősségi terápia alkalmazását követően
- Bizottság: +/- vélemény, nyilvánosan elérhető
- ha nincs ajánlás: off –label alkalmazás indítható az orvos felelősségére (bejelentés!)
- eredményességet a kezelés teljes időtartamában követni kell (riport)



Lehetséges bizottsági álláspontok, javaslat

Terápiás állásfoglalás, azaz irányelvekben meglévő terápiás modellekre támaszkodva létrehozott állásfoglalás

Elavult termékek alkalmazásának, kontraindikációban alkalmazott terápiák kiszűrése

Kérelemre tervezett indikációban való felhasználás szakmai értékelése

Pozitív és negatív állásfoglalás



COMP, 2017 Rare Disease Day