

Spesielle godkjenningsprosedyrer i EU

Rådgivningsmuligheter og forpliktelser
sett fra industriens synspunkt

Elisabeth Hagen
Regulatory Advice Management as

13 November 2008 – Norsk Biotekforum, Oslo

Innhold

Exceptional Circumstances

Conditional Approval

Advanced Assessment - "Fast Track"

Orphan Drug

Compassionate use

Scientific Advice

SME status

Exceptional Circumstances

Hva betyr det?

Brukes uhyre sjelden. (skal virkelig være "exceptional")

3 muligheter:

Indikasjonen så sjelden at søker ikke kan forventes
fremskaffe "comprehensive" data

Medisinsk vitenskap har ikke kommet tilstrekkelig langt

Nødvendig informasjon kan ikke fremskaffes pga
etiske prinsipper

Exceptional Circumstances

Hva bør man spesielt tenke på?

Ha pre-submission møte!

Be om Scientific Advice

Husk! ”Justification”!

Guideline: EMEA/357981/2005

Hva innebærer det mht fordeler?

MA uten å ha fremskaffet fullstendig dokumentasjon fordi det bedømmes som umulig på nåværende tidspunkt å kunne fremskaffe det

Exceptional Circumstances

Hvilke forpliktelser må man akseptere?

Sikre all mulig informasjon, spesielt vedr sikkerhet, slik at en slags B/R ratio bedømming kan gjøres

Man blir pålagt en rekke "post-authorisation commitments" og FUMs innen en gitt tidsramme, med nøye monitorering og direkte rapporteringsplikt vedr bruken (S&E)

Årlig "reassessment" av B/R ratio

Specific obligations: klinisk program, forskrivningsregler
SPC/PIL .

Exceptional Circumstances

Tenk spesielt på:

Klarer man å begrunne og dokumentere at det er umulig å fremskaffe dokumentasjon som egentlig kreves for en MA?

Be om "Pre-submission" møte og "Scientific Advice" tidlig, og allerede da bør man ha en god begrunnelse for hvorfor nødvendig dokumentasjon ikke kan fremskaffes

Har firmaet resurser til den nitidige overvåking som vil kreves?

NB! Man kan ikke be om ScA vedr etiske aspekter!

Conditional Approval

Hva betyr det?

Man forventes (til slutt) å kunne fremskaffe den nødvendige dokumentasjonen, men den antatte nytten for folkehelsen er så stor at man kan få MA i påvente av at slik dokumentasjon kan fremlegges

Produktet har allerede en (meget) positiv B/R ratio og senere (pålagte) kliniske program forventes confirmere det

Dette anses som en temporær MA og forventes overgå i en vanlig MA når komplett dokumentasjon er fremskaffet.

Conditional Approval

Hva innebærer det mht fordeler?

Tidlig markedsføring

Kan få hjelp med å konstruere et passende klinisk program

Hvilke forpliktelser må man akseptere?

Årlig “review” av autorisasjonen (den kan fornyes)

MA forventes overgå til en vanlig MA når fullstendig dokumentasjon er fremskaffet (innen en gitt tidsramme)

Det knyttes betingelser (“conditions”) til CA, vanligvis vedr klinisk program, indikasjon, pharmacovigilance etc

Conditional Approval

Hva bør man spesielt tenke på?

Fyller man kriteriene? Også her er det en streng bedømmning!
"unmet medical need"

Har man i tidlig fase så gode ("extra compelling") resultater både klinisk og statistisk vedr effekt og sikkerhet at en (meget) positiv B/R profil forventes bli dokumentert på senere tidspunkt?

Be om Scientific Advice og Pre-submission møte i god tid.
Må kunne begrunne hvorfor man mener dette bør bli en CA

Har man resurser til de omfattende "conditions", "special commitments" og FUMs som antagelig vil bli krevet?

Om resultater fra kliniske prøvninger

Hva betyr "extra compelling data"?

Hvordan og når bruke "surrogate endpoints"

Betydelsen av validerte analysemetoder

Hva innebærer det ?

Be om Scientific Advice!

Accelerated Assessment- "Fast Track"

Når kan man få det?

Central Procedure produkt

Produkt "of Major interest" basert på pasientbehov / "public health"

Innovative terapier og viktige medisinske / vitenskaplige fremskritt

"unmet medical need" - "significant extent" - "major added value"

Guideline: EMEA/419127/05

Accelerated Assessment- "Fast Track"

Hvordan kan man få det?

Først sende "notification of intent" og siden sende inn en søknad (request) så snart som mulig

Be tidlig om Pre-submission guidance meeting!

Må kunne begrunne / dokumentere at produktet er av meget stor vekt utfra et "public health" perspektiv

Accelerated Assessment- "Fast Track"

Hvilke er fordelene?

Rask saksbehandling, MA etter 150 dager mot ellers 210 dager

Firmaet får anerkjent at det er en medisinsk innovasjon og en viktig ny terapi

Man blir lagt merke til som en innovativ firma og om man har en god dossier får man godt renommé

Accelerated Assessment- "Fast Track"

Har det noen negative følger?

Må være meget velbegrunnet - "case-by case"
Ikke sløs med EMEA / CHMPs tid!

Tenk spesielt på:

At man får AA betyr ikke at den får en "positive opinion" og dermed en godkjent MA!

CHMPs "Timetable" kan endres, er dere klare til å leve opp til det?
Vær forberedt på rask "oral hearing" - Vær klar til møte med SAG

CHMP kan også (når som helst) bytte fra AA til vanlig utredningstid basert på fremkomne spørsmål eller "objections"

Orphan Drug

Hvordan får man OD status

Det må søkes om spesielt (COMP) - Må oppfylle spesifikke kriterier

NB! USA/FDA og de japanske myndighetene har også slike ordninger. Samarbeid med US/FDA er nå mulig

Hva innebærer OD status?

Produkt og indikasjon er offentlig, listes hos EC

Når kan man få det?

Egentlig når som helst før submission of MA, men vanligvis i tidlig fase pga ønske om Scientific Advice vedr "Development Plan" og/ eller Protocol Assistance (PA)

Orphan Drug

Hvordan beholder man OD status?

Fortsetter å oppfylle kriteriene

Tar til seg de råd man fikk ved ScA

Fullfører det kliniske programmet

Sender inn årlig statusrapport

Hvordan sikrer man OD / MA godkjenning?

Må ha en positiv B/R profil !

Man kan be om AA resp EC eller CA ved siden om OD, hvis man også fyller de respektive spesifikke kriteriene

Orphan Drug

Hvilke er fordelene med ordningen?

Lang "exklusivitet"

Fee reduction

Hjelp og råd under utviklingen og design av studier

Hva bør man spesielt tenke på?

Dette tar tid og resurser!

Planer for møter og "oral hearings" og eksperthjelp

Hvis man vil søke OD i US el J bør man "samordne" dossierinnhold og skjønne forskjellene mellom ordningene

Unngå "slicing" av indikasjon(ene) -En søknad pr indikasjon!

Compassionate Use

Hva er det?

En ordning som tillater at et ikke godkjent medisinsk produkt kan brukes ved spesielle tilfeller

Når:

Humanitær hjelp, hovedsaklig livstruende sykdommer

Hvordan:

Må søkes om, behandlingen må følges opp og rapporteres

Hva må man ikke: Bruke dette som tidlig markedsføring eller fordi man ikke kan / har tid eller resurser til å gjøre de nødvendige kliniske utprøvingene

Scientific Advice

Hvordan får man det?

Søker på spesielt skjema i god tid
Legg arbeid i utfylling av meldeskjemaet
Ekstra nøye med ordvalg i "Target Indikation
"Chemical" eller "biotech" ?

Tenk nøye over spørsmålsformuleringene!

Innsendelsesdato & logistikk vedr møte(r)
Protocol outline

Husk SME nr og fee reduction request

Scientific Advice

Hva innebærer det mht fordeler?

Råd og hjelp med utvikling av produktet

Du "blir kjent med" EMEA/ SAWP/SAG og de blir kjent med ditt firma og produkt

Hva er spesielt viktig å tenke på?

ScA forplikter - Det tar tid og resurser

Ikke spør om det du vet eller burde vite !

Ikke be om råd hvis du ikke har tenkt følge dem,
eller har en meget god begrunnelse for hvorfor du
gjør noe annet!

Scientific Advice

Har det noen negative implikasjoner?

”Bindende” for firmaet, men ikke for SAG / CHMP
Ikke sløs med myndighetenes tid!

Hva er spesielt viktig å tenke på?

ScA forplikter - Det tar tid og resurser
Ikke spør om det du vet eller burde vite
Ikke be om råd hvis du ikke har tenkt følge dem,
eller har en meget god begrunnelse for hvorfor du
gjør noe annet!

Scientific Advice

Husk også!

Ikke var "belærende – ta et spørrende modus
"Under dog"

Har du tilgang til den rette eksperthjelpen?

Ikke bli sur hvis:

du føler at du/ditt firma gjorde all jobben
noen av møtedeltakerne ikke har lest all den fine
dokumentasjonen dere sendte inn og stilte
"tåpelige" spørsmål

Small & Medium sized Enterprises

Hvem er det?
spesifikke kriterier

Hvordan kan man få SME status?
søknad til SME kontor hos EMEA

Innebærer fordeler
Fee reduction
Hjelp med protokoller
Annen mulig nytte?

Husk å fornye i tide!

Bruk de midler som finnes til rådighet
Oppnå de fordeler du kan

Lyv aldri
Aksepter og lev opp til forpliktelsene

Da vil du lykkes!