

# Soluhoidovalmisteet ja määräys yksittäisten potilaiden hoidosta

matti korhonen  
12.1.2010

# Sisältö

- Veripalvelu ja uudet soluhoidot
- määräys nostaa rimaa
- eri tyyppiset soluhoidot
- määräyksen soveltaminen

'Yksittäisen potilaan hoitoon'

'Rutiininomainen valmistus'

Eettisyyden varmistaminen:

hoitokokeilu/kliininen tutkimus



## Veripalvelu lyhyesti

- 550 työntekijää • 17 toimipaikkaa ja liikkuva veripalvelu
- toiminta on voittoa tavoittelematonta • vuosibudjetti 77 milj. euroa



**160 000**

verenluovuttajaa

>

**275 000**

verenluovutusta

>

**50 000**

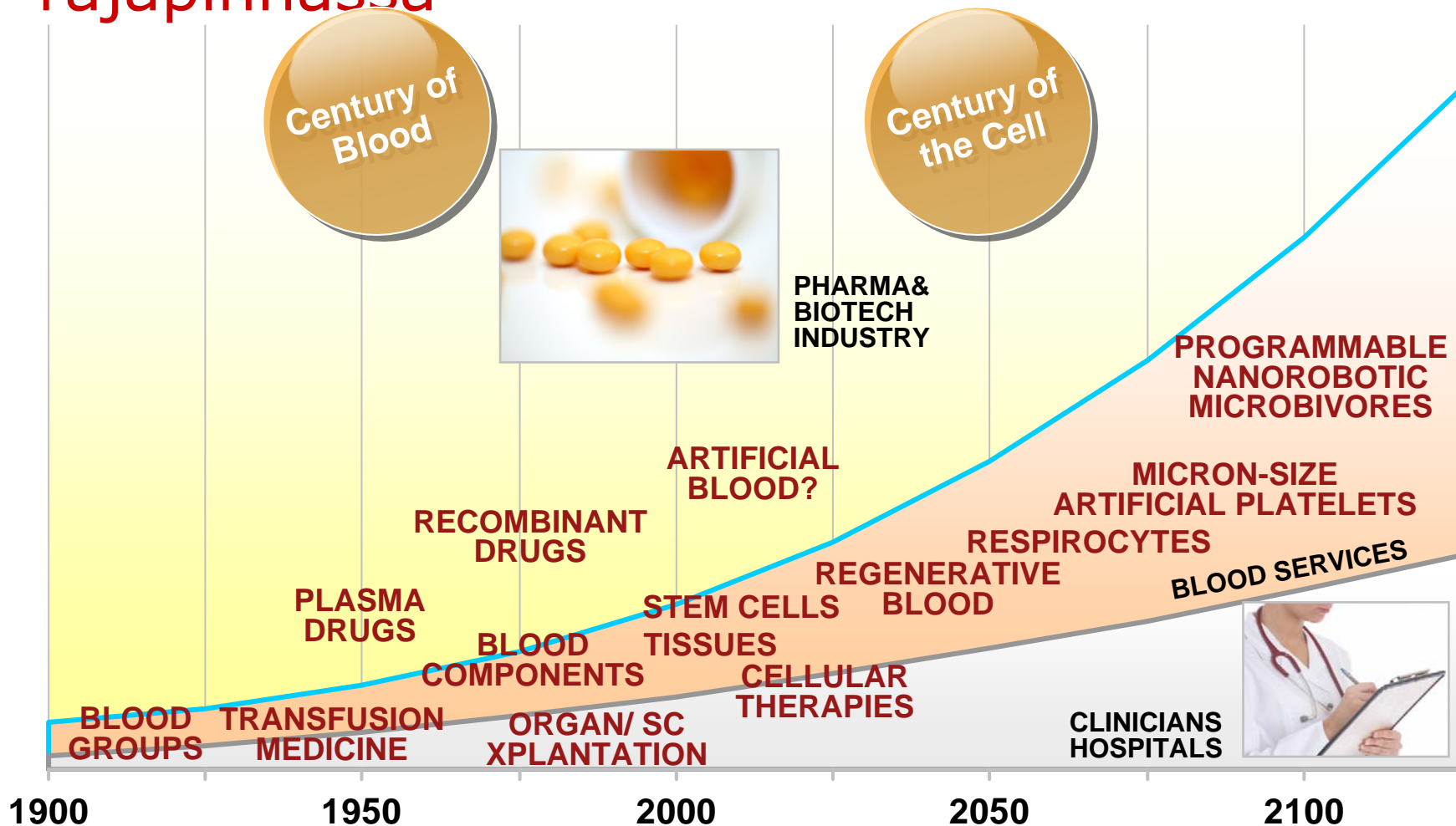
potilasta

## Luomme mahdollisuuksia elämän pelastamiseen

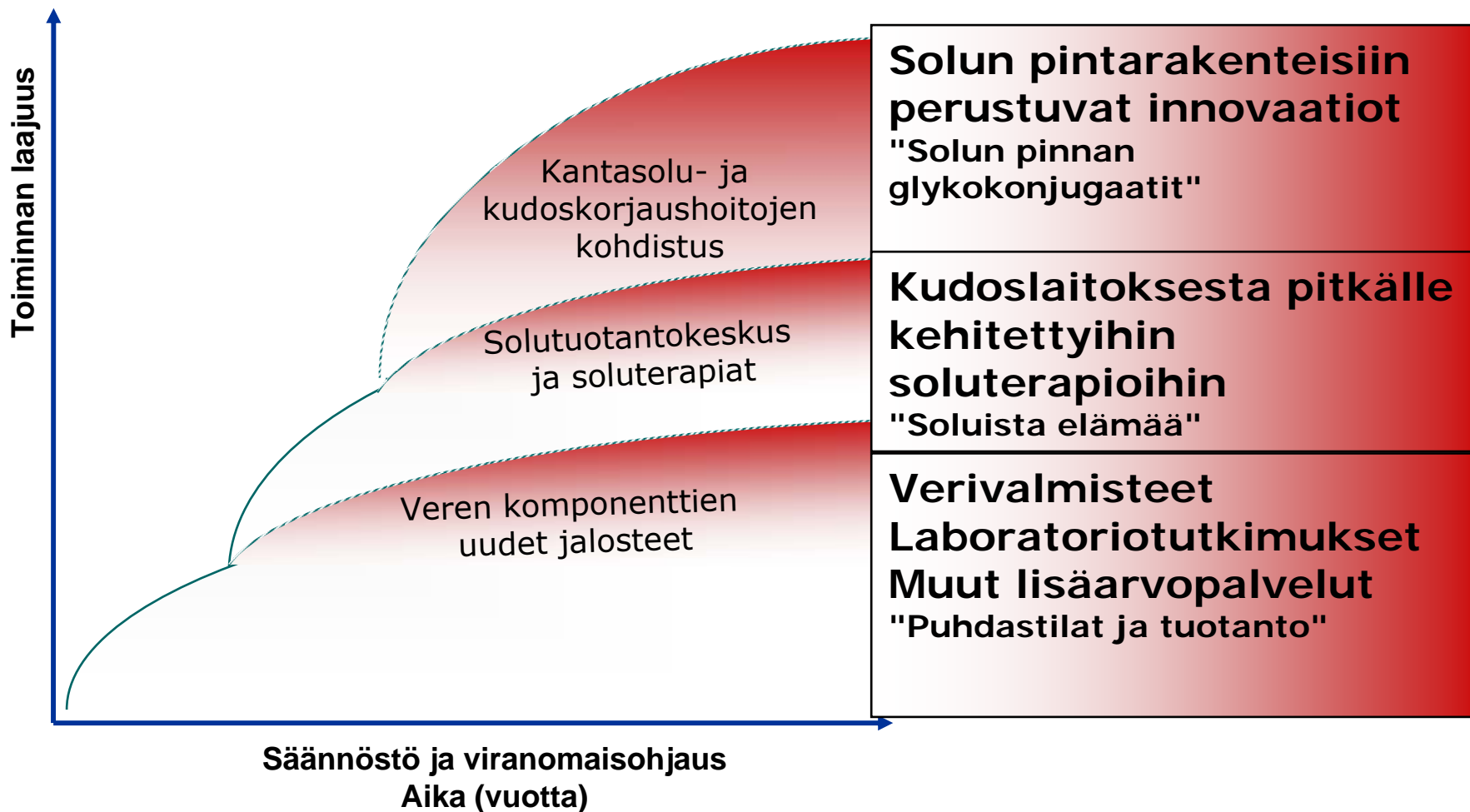
- verivalmisteet • potilastutkimukset • raskaudenaikaiset veriryhmätutkimukset • kudossopeutuvuustutkimukset
- kantasolusiirteet • kudospalvelut • istukkaveripalvelu
- luuytimenluovuttajarekisteri • lääkevälitys • tutkimus ja tuotekehitys



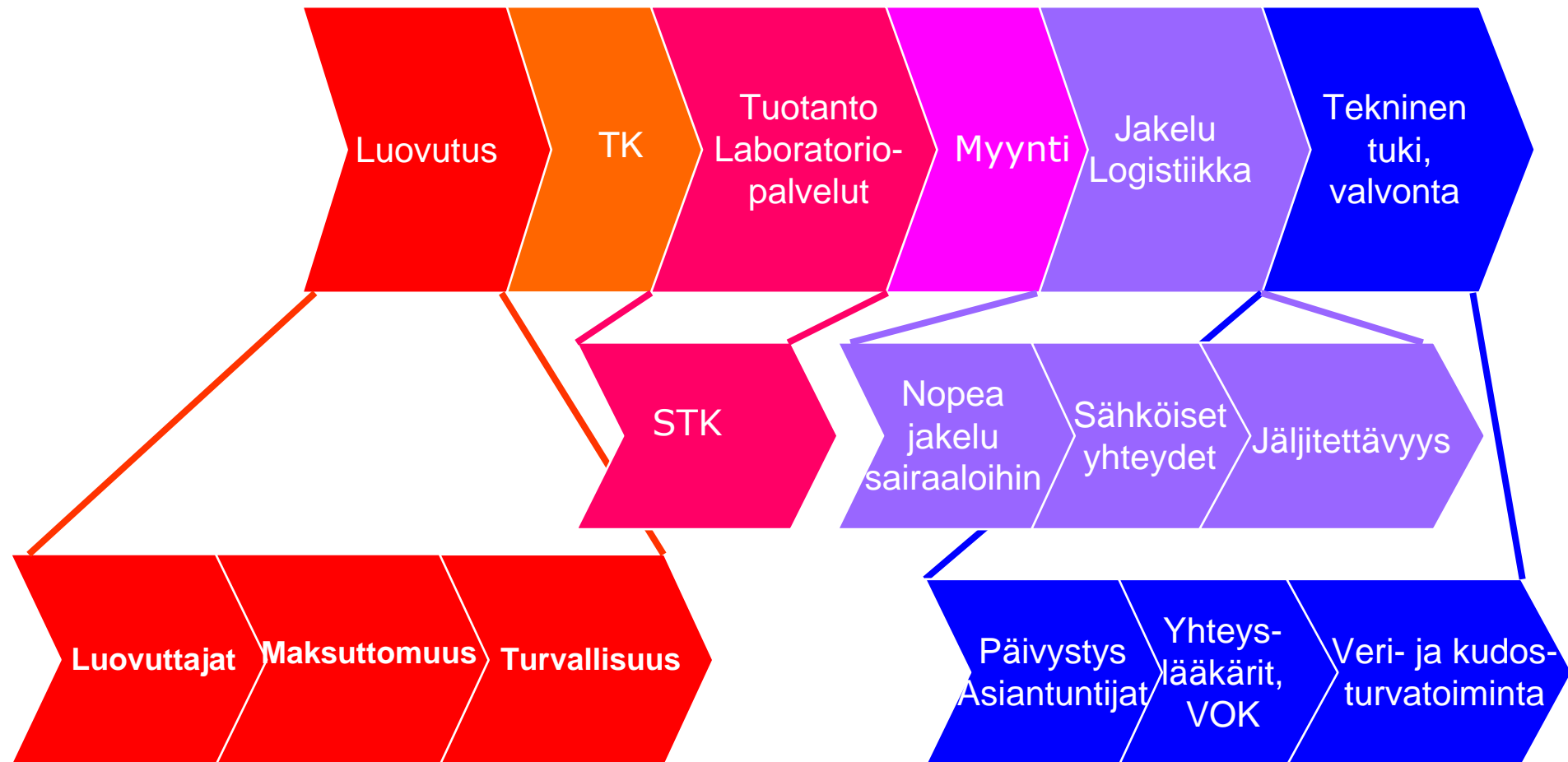
# Veripalvelu uusien terapioiden rajapinnassa



# Veripalvelun kehittämisen kolme horisonttia



# Veripalvelulla on vahva asema "Pitkälle kehitetyissä tera- pioissa käytettävien lääkkeiden" arvoketjussa



## 2 VALMISTUSLUVAN HAKEMINEN

Pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden lääkärin määräykseen perustuva ei-rutiininomainen valmistaminen yksittäiselle potilaalle edellyttää Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskuksen myöntämää valmistuslupaa. Valmistuslupaa haettaessa hakemukseen on liitettävä seuraavat tiedot:

1. Valmistajan tunnistetiedot; valmistaja, postiosoite, katuosoite
2. Selvitys valmisteesta ja sen turvallisuudesta hoidettavalle potilaalle sekä tämän määräyksen kohdan 3.1.1 edellyttämät valmistekohtaiset laatuvaatimukset
3. Lääkkeen määrääjän ja hoidosta vastaavan lääkärin tiedot
4. Selvitys valmistusprosessista
5. Valmistuksen vastuuhenkilöt sekä heidän pätevyytensä; valmisteen jaeltavaksi vapauttava vastuuhenkilö ja selvitys hänen pätevyydestään tehtävään sekä muut valmistuksen vastuuhenkilöt
6. Valmistukseen osallistuva henkilöstö ja heidän pätevyytensä
7. Yleinen selvitys valmistajan laatujärjestelmästä
8. Selvitys valmistustiloista
9. Selvitys valmistuksessa käytettävistä laitteista ja välineistä
10. Selvitys jäljitettävyyden toteutumisesta valmistuksessa käytettävien ihmiskudosten tai –solujen tai ihmisveren tai sen osien sekä valmisteen laatuun tai turvallisuuteen vaikuttavien muiden lähtö- tai raaka-aineiden, tuotteiden tai materiaalien osalta
11. Selvitys menettelyistä valmistuksessa tapahtuneiden vakavien vaaratilanteiden käsittelemiseksi
12. Selvitys lääketurvatoiminnan menettelyistä
13. Henkilötietolain (523/1999) mukainen rekisteriseloste valmistajan käsittelemistä tai säilyttämistä henkilötiedoista
14. Selvitys pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävällä lääkkeellä toteutettavan hoidon eettisyydestä.
15. Selvitys valmisteen ympäristövaikutuksista tarvittaessa (esimerkiksi geeniterapiavalmisteet)

### 3 VALMISTEEN LAATU JA TURVALLISUUS

(GMP) periaatteiden mukaisesta valmistuksesta.

valmisteen farmaseuttis-kemiallisista ja biologisista ominaisuuksista

säilyvyydestä tulee esittää tutkimustuloksia



## **Muuta**

lääkkeiden hyvien tuotantotapojen periaatteita.

päällysmarkkintöjen

### **5.1 Kudos- ja veriturvatoiminta**

### **5.2 Lääketurvatoiminta ja vuosittain tehtävä turvallisuus**

## **6 JÄLJITETTÄVYYS**

# Rima on suht' korkealla

- mahdollistaa ATMP:n pienimuotoiset hoitokokeilut
- varmistaa valmisteiden laatua/turvallisuutta

# Sisältö

- Veripalvelu ja uudet soluhoidot
- määräys nostaa rimaa
- eri tyyppiset soluhoidot
- määräyksen soveltaminen

'Yksittäisen potilaan hoitoon'

'Rutiininomainen valmistus'

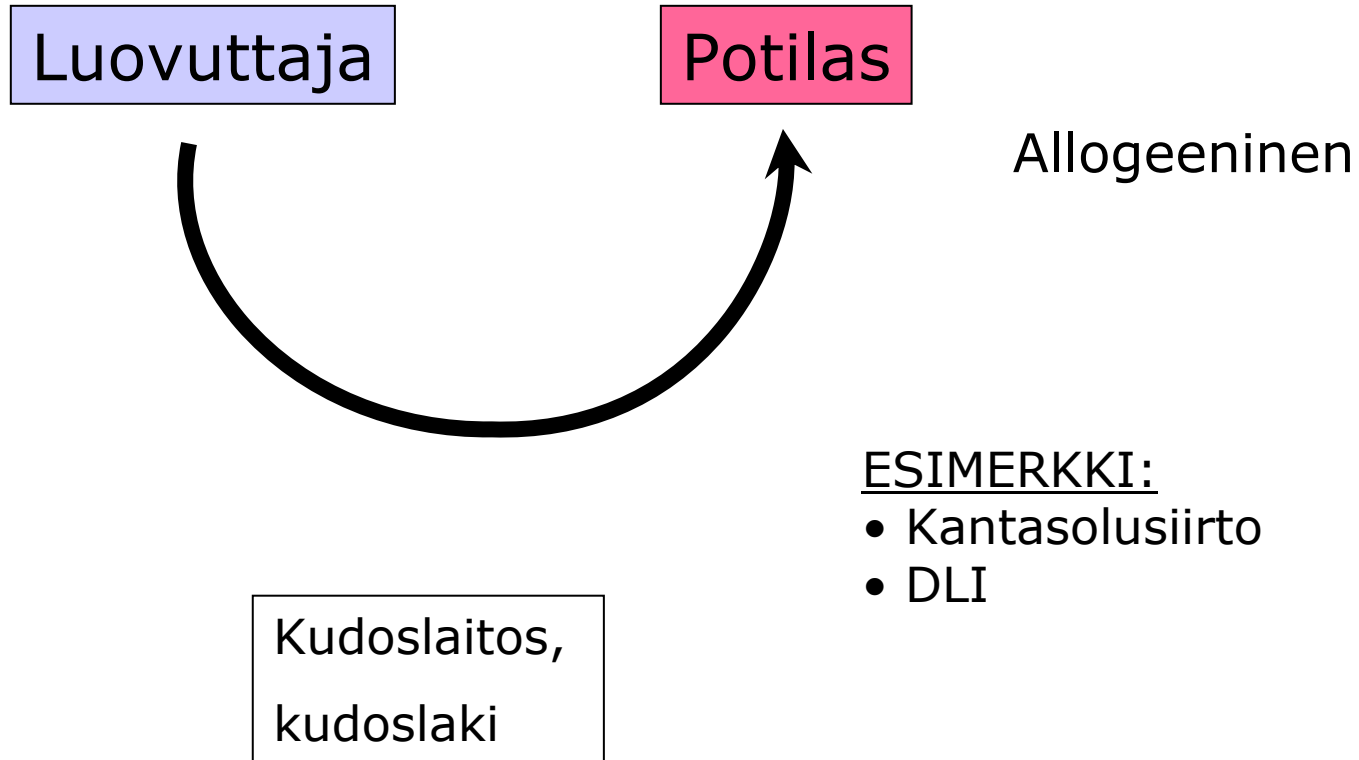
Eettisyyden varmistaminen:

hoitokokeilu/kliininen tutkimus

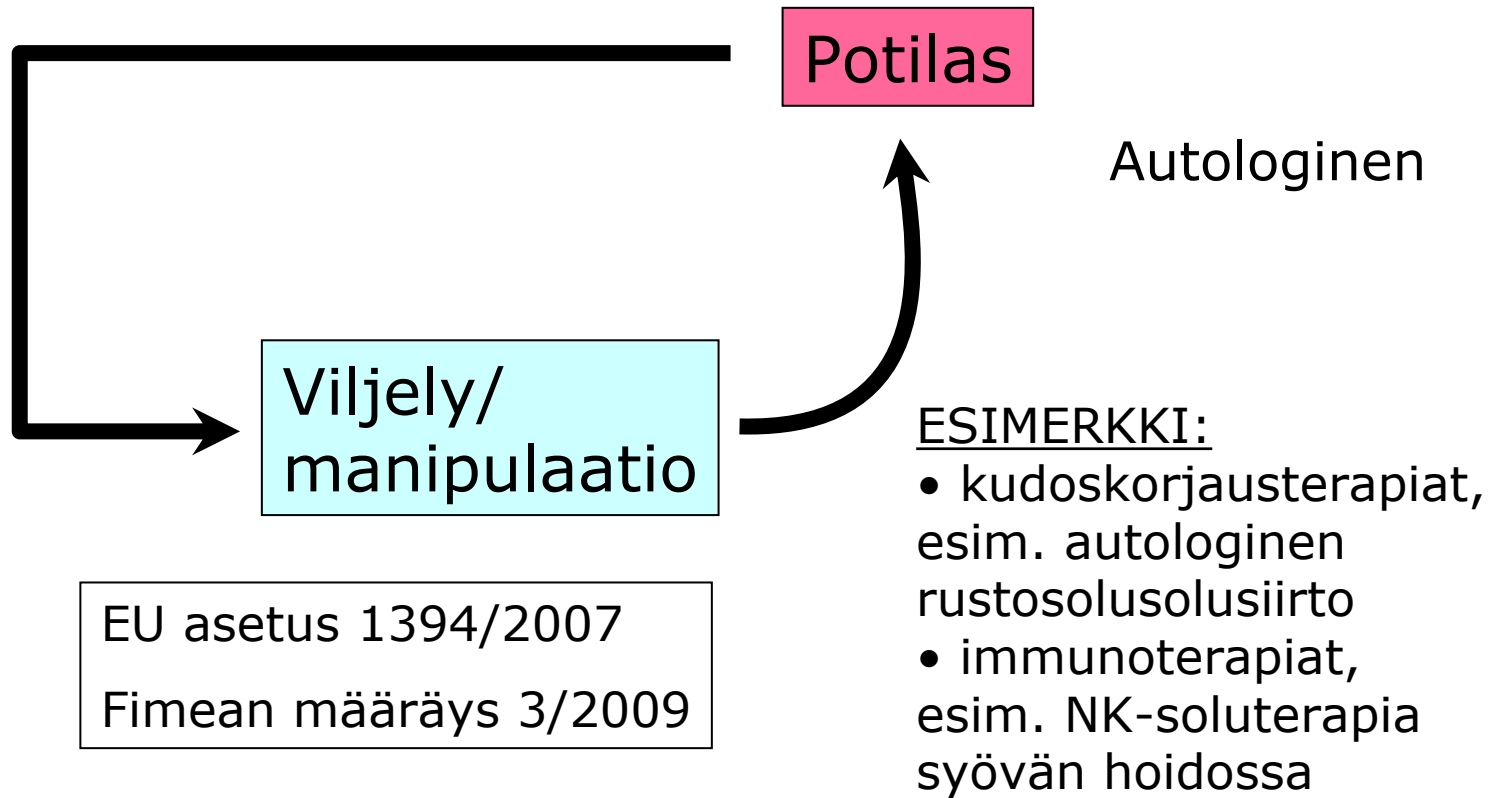
# Ei-manipuloitu soluvalmiste

<ul style="list-style-type: none"><li>• Leikkaaminen</li><li>• Jauhaminen</li><li>• Muodon muuttaminen</li><li>• Sentrifugointi</li><li>• Antibiooteille tai antimikrobisille liuoksille altistaminen</li><li>• Sterilointi</li><li>• Säteilytys</li><li>• Solujen erottaminen, konsentroidi tai puhdistus</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Suodattaminen</li><li>• Kylmäkuivaus</li><li>• Jäädäyttäminen</li><li>• Kylmäsäilytys</li><li>• Vitrifikaatio</li></ul> <p>(EU asetus 1394/2007)</p>	<p>siirto tipotilaalle</p>
--	--	--------------------------------

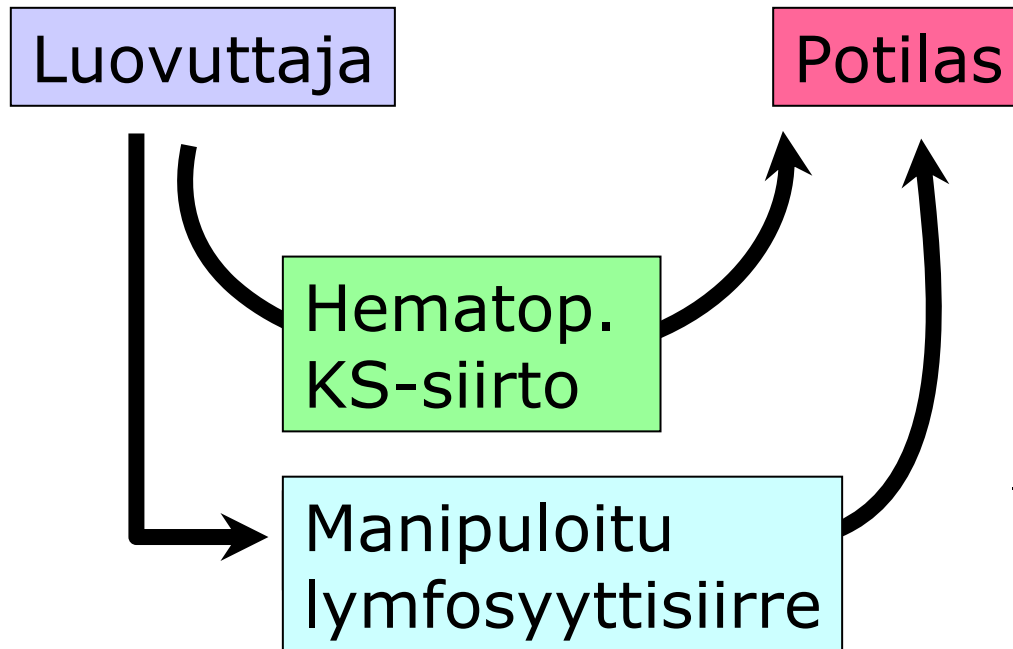
# ● Ei-manipuloitu soluvalmiste



# Manipuloitu soluvalmiste



# Manipuloitu solusiiirteet



Allogeeninen

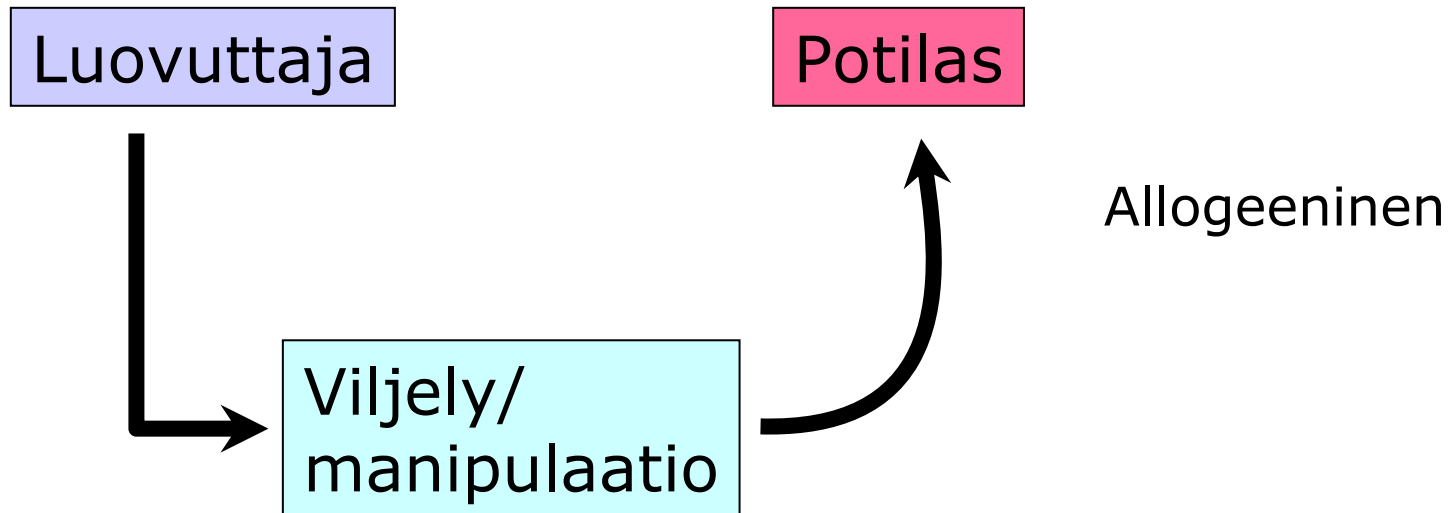
## ESIMERKKI:

- CMV-spesifit T-solut
- NK-solut
- Treg-solut

EU asetus 1394/2007

Fimean määräys 3/2009

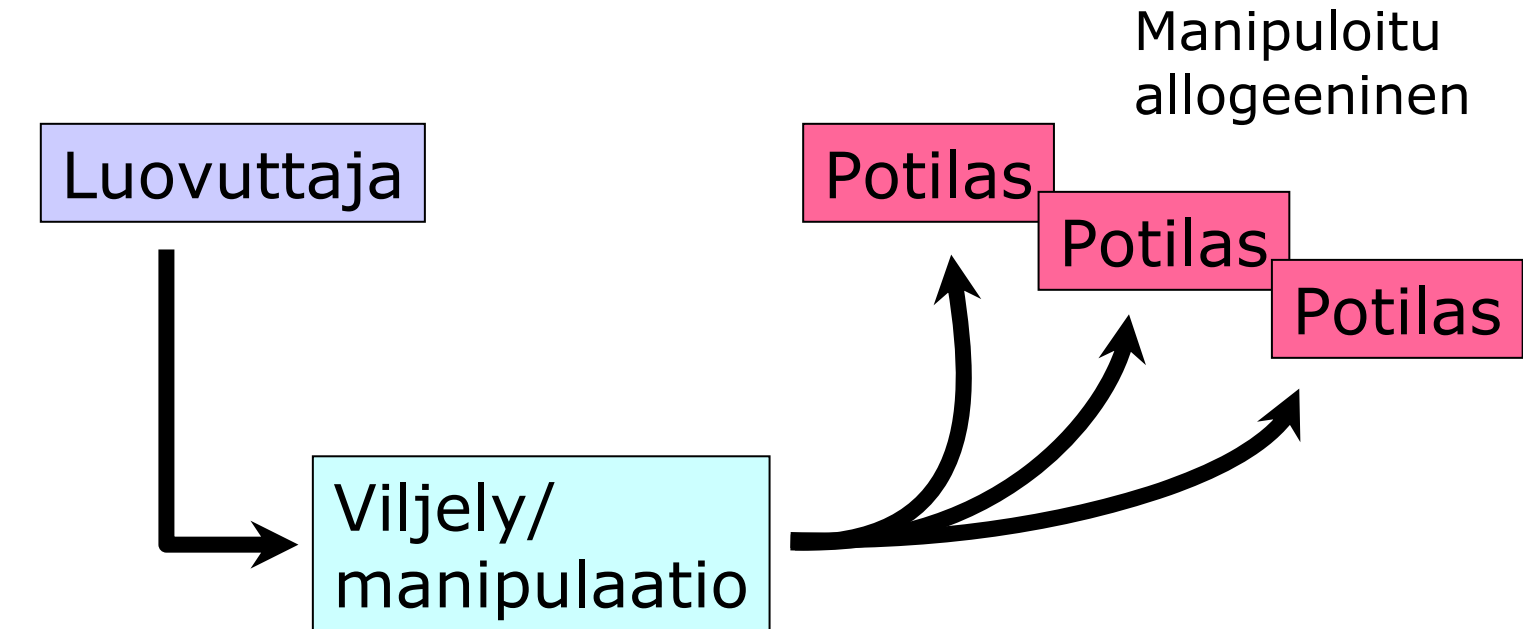
# Manipuloitu soluvalmiste



EU asetus 1394/2007  
Fimean määräys 3/2009



# Manipuloitu soluvalmiste

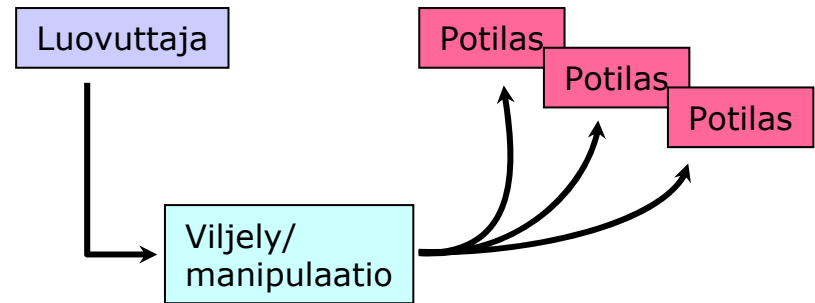
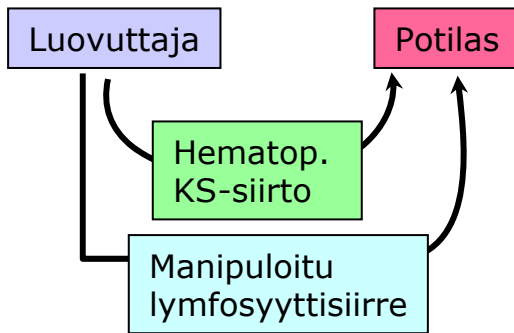
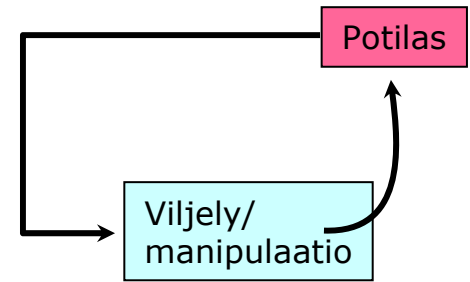
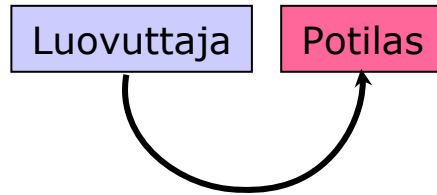
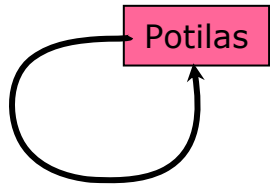


EU asetus 1394/2007  
Fimean määräys 3/2009

## ESIMERKKI, MSCt:

- käännteishyljintään
- Mb. Crohn
- sydäninfarkti

# Miten nämä mallit mahtuvat määräyksen piiriin?



# Yhdeltä usealle

- yhden luovuttajan soluja annetaan pienelle, rajalliselle joukolle potilaita (=hoitokokeilu)
- siirteen saaneiden seuranta voidaan järjestää kuten kudossiirroissa (kuten esim. luupankkitoiminta).  
Kudos/veriturvatoiminta
- kaikki siirteen saaneet potilaat ovat yksilöitävissä
- siirteen ja sen komponenttien jäljitettävyys

# Sisältö

- Veripalvelu ja uudet soluhoidot
- määräys nostaa rimaa
- eri tyyppiset soluhoidot
- määräyksen soveltaminen

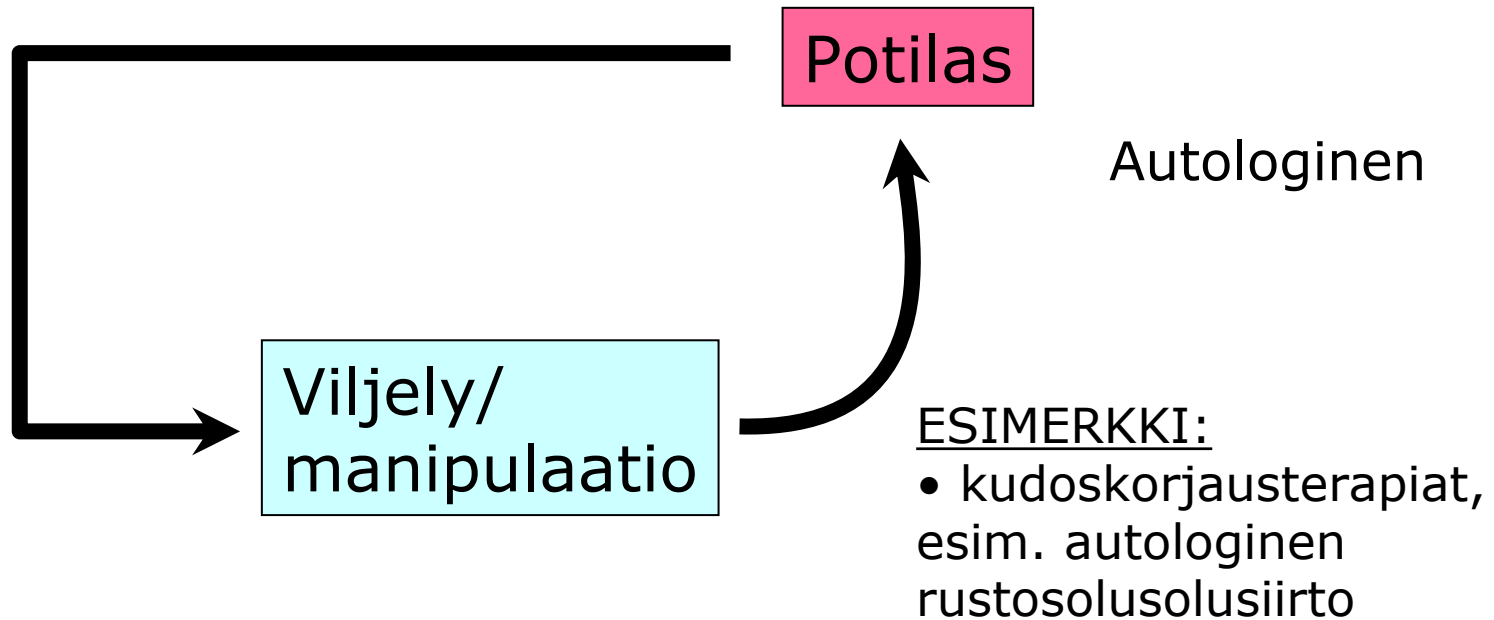
'Yksittäisen potilaan hoitoon'

'Rutiininomainen valmistus'

Eettisyyden varmistaminen:

hoitokokeilu/kliininen tutkimus

# ● Milloin solutuotanto muuttuu rutiininomaiseksi?



# ● ATMP:n käyttö hoitokokeiluissa/kliinisissä tutkimuksissa

Selvitys  
eettisyydestä



Potilaan turvallisuus:

- sairaanhoitolaitoksen tutkimuslupa
- eettinen tmk



Saadun tiedon distribuutio:

- julkaisu

hoitokokeilu > < kliininen tutkimus

# Sisältö

- Veripalvelu ja uudet soluhoidot
- määräys nostaa rimaa
- eri tyyppiset soluhoidot
- määräyksen soveltaminen

'Yksittäisen potilaan hoitoon'

'Rutiininomainen valmistus'

Eettisyyden varmistaminen:

hoitokokeilu/kliininen tutkimus



# Kiitos mielenkiinnosta







# Solujen tuotantoprosessi

**Luuytimen keräys**



Mesenkymaalisten kantasolujen  
Viljeleminen (6-8 viikkoa)

**Solujen keräys ja  
pakastaminen**



Solujen laadunvarmistus:

- pintamerkkianalyysi
- karyotyypaus
- mikrobiäytteet



**Solut vapautetaan karanteenista  
vasta laadunvarmistuksen  
jälkeen**

