

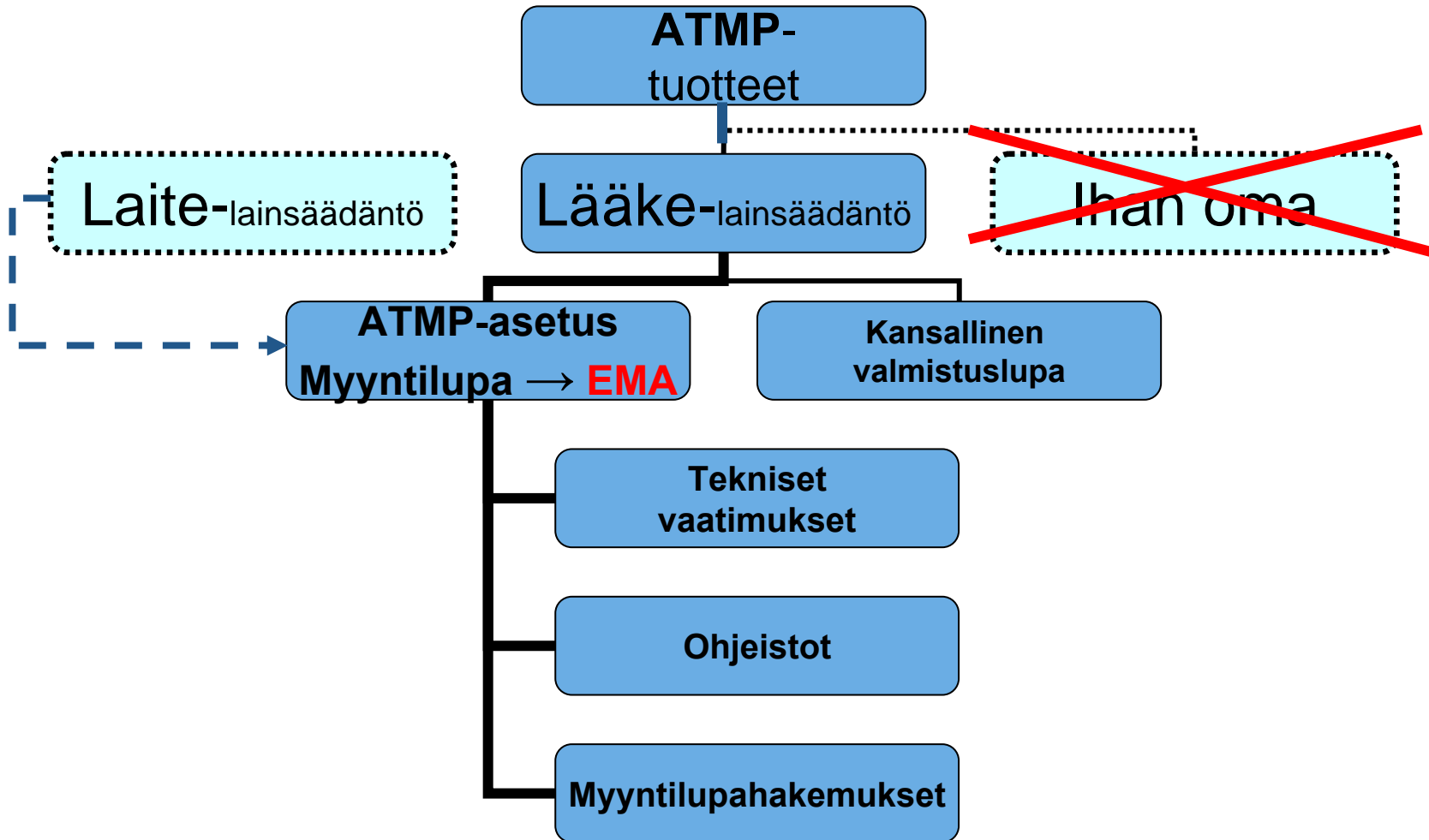
Keskustelutilaisuus soluterapiatuotteiden testauksesta

EMA:n näkökulma kehittyneisiin
terapiatuotteisiin

Pekka Kurki

Fimea

13.12.2011



Asetus 1394/2007:

Myyntilupa keskitetyssä menettelyssä

- Pienille ja keskisuurille yrityksille helpotuksia (maksut, tieteellinen neuvonta, laatu- ja pre-kliinisten tulosten sertifiointi)
- Uusi kehittyneitä terapioiden käsittelevä komitea (CAT)
- Myyntiluvan jälkeiset teho- ja turvallisuustutkimukset
- Kansallinen valmistuslupamenettely ei-teolliselle ATMP valmistukselle (hospital exemption)

Kansallinen valmistuslupa

- ei-teollinen valmistus
- **spesifisten laatuvaatimusten mukaisesti** ja
- käytetään samassa jäsenmaassa
- **sairaalassa** lääkärin vastuulla ja määräyksellä
- yksittäiselle potilaalle tarkoitettulle uniikille tuotteelle

*HE: Yksilöllinen hoito tarkoittaa joko potilaan oman (autologisen) kudoksen/solujen käyttöä tai **pienimuotoista** kokeellista hoitoa muilla ATP-valmisteilla*

Mitä myyntilupaan kuuluu?

- tuote + toimenpide
- samanaikaisesti tarvittava muu lääkitys
 - immunosuppressio
- tuotetta käyttävien sairaaloiden/käyttäjien rekisteröinti
 - erityisseuranta
- lähikontaktien monitorointi
 - virusvektorit, xenogeeniset solut

Solu- ja kudosuokkaustuote

Solu- ja kudosuokkaustuote sisältää muokattuja soluja tai kudoksia ja se on tarkoitettu kudosten **korjaamiseen** (esim. keinoiho, selkäydinvaurio) tai **uudelleen rakentamiseen** (insuliinia tai dopamiinia tuottavat solut).

Kudosuokkaustuote voi myös **korvata puuttuvan elimen** (keinomaksa).

Kudosuokkaustuote voi sisältää paitsi eläviä tai kuolleita ihmis- tai eläinsoluja myös **biomateriaaleja, tukirakenteita tai laitteita**.

ATMP-tuotteet voivat parantaa nykyisiä hoitomahdollisuuksia, mutta avata myös aivan uusia.

Lääkehoidon kehitystrendejä

- Kehitys kohti täsmälääkitystä
 - Oikea potilas
 - Oikea taudin vaihe
 - Oikea vaikutuskohta
- **Kehittyneiden terapioiden lääkkeet**
 - Geeni- ja soluterapia
 - Kudosmuokkaus



Kuka valvoo ATP-tuotteita?

Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus | Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet | Finnish Medicines Agency

EMA



EMA koordinoi
myyntilupatoimintaa

Fimea

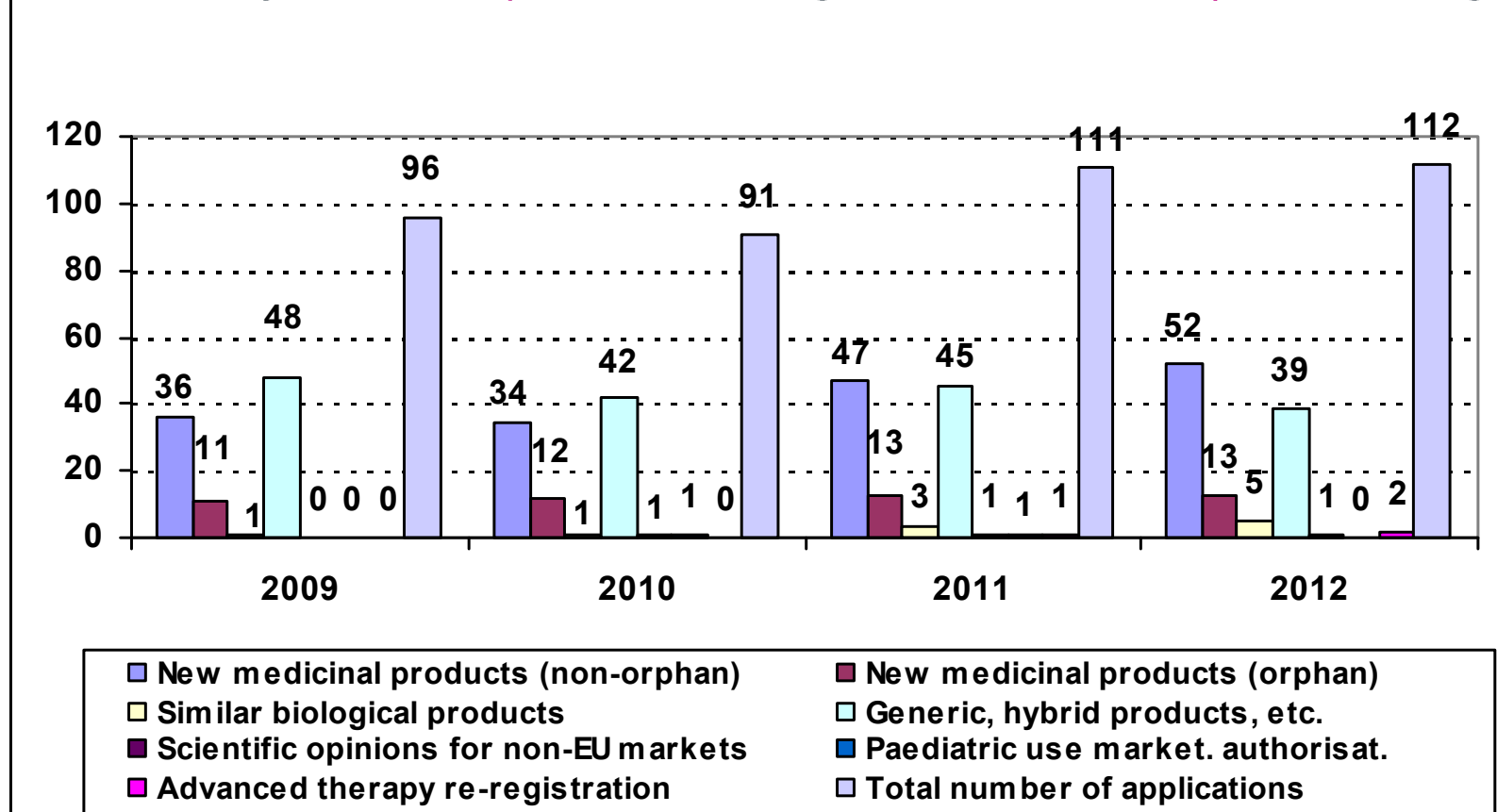


Kansalliset viranomaiset arvioivat
+ kansallinen valmistuslupa

Strategy of EMA (Road Map)

- Mission
 - Protection of public health and animal health
 - Promotion of **free movement of medicinal products** within EU = harmonisation of regulatory requirements
 - **Facilitation of the development of medicinal products in EU**
- Operation according to the network model
 - National regulatory agencies provide the scientific resource

EMA:n strategia korostaa saatavuutta turvallisuuden ohella



Uusien innovatiivisten lääkkeiden määrä vaatimaton.



Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus | Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet | Finnish Medicines Agency

Implementation plan for the Road map to 2015

Optimising the scientific advice process and establishing earlier and more continuous dialogue



Utilising information from failed development studies



Addressing the challenges of globalisation

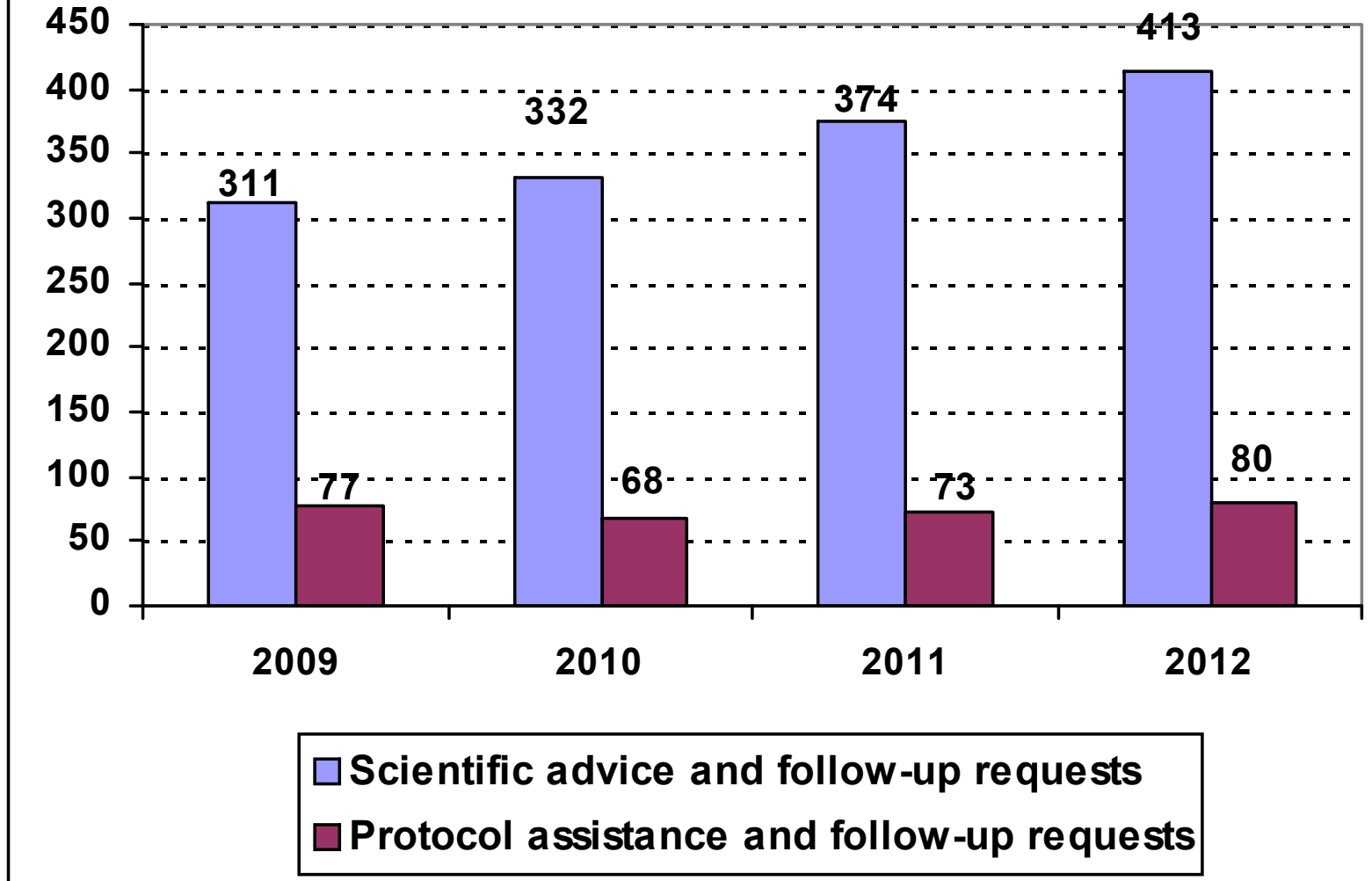


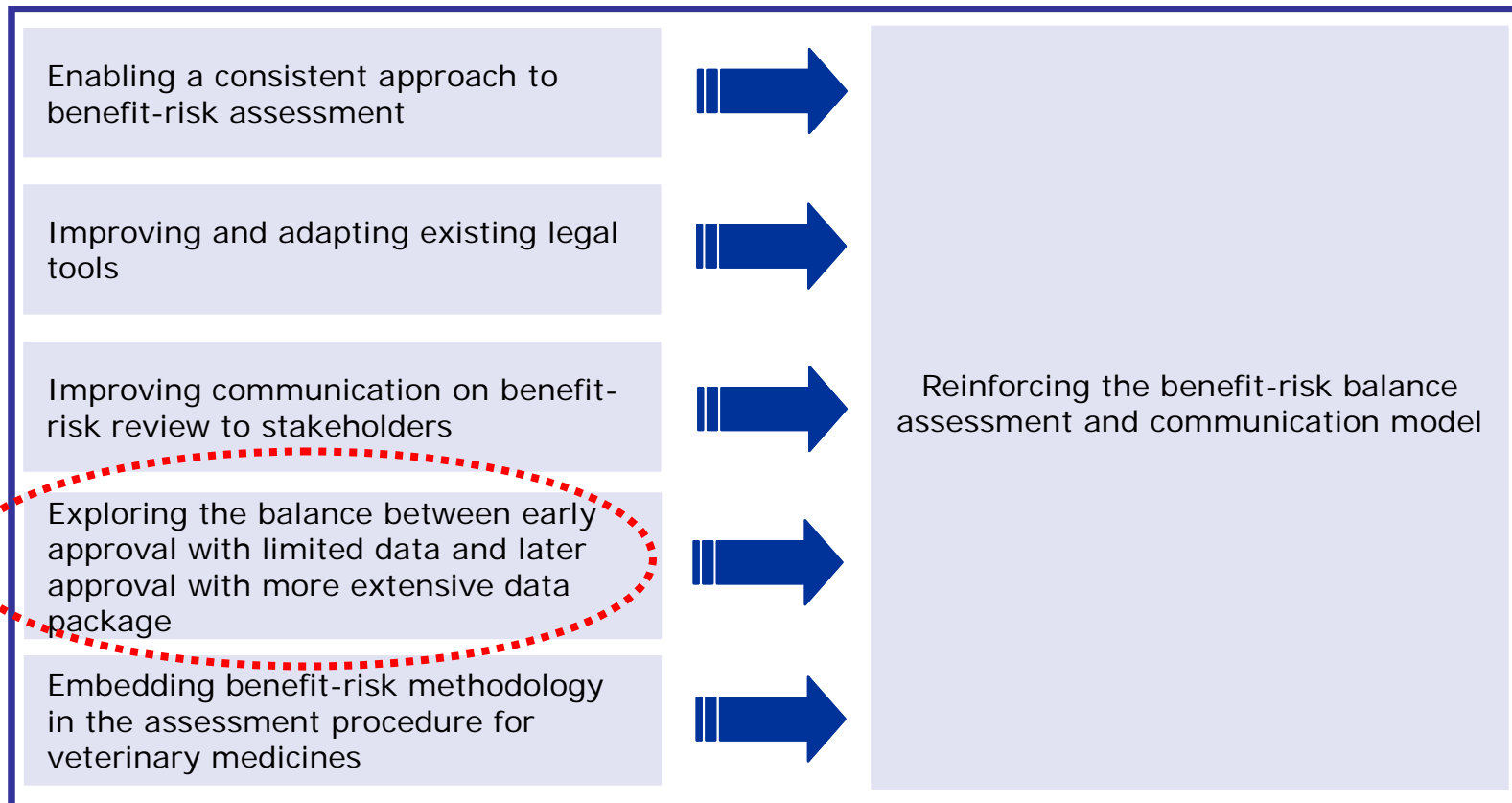
Strengthening advice and incentive frameworks for veterinary medicines



Addressing the high attrition rate during development and improving the process for approval

EMA pyrkii luomaan säännöllistä vuorovaikutusta lääkkeen kehittäjien kanssa entistä aikaisemmassa vaiheessa.





Lääkkeen hyötyjä ja riskejä arviointi tapahtuu vaiheittain.

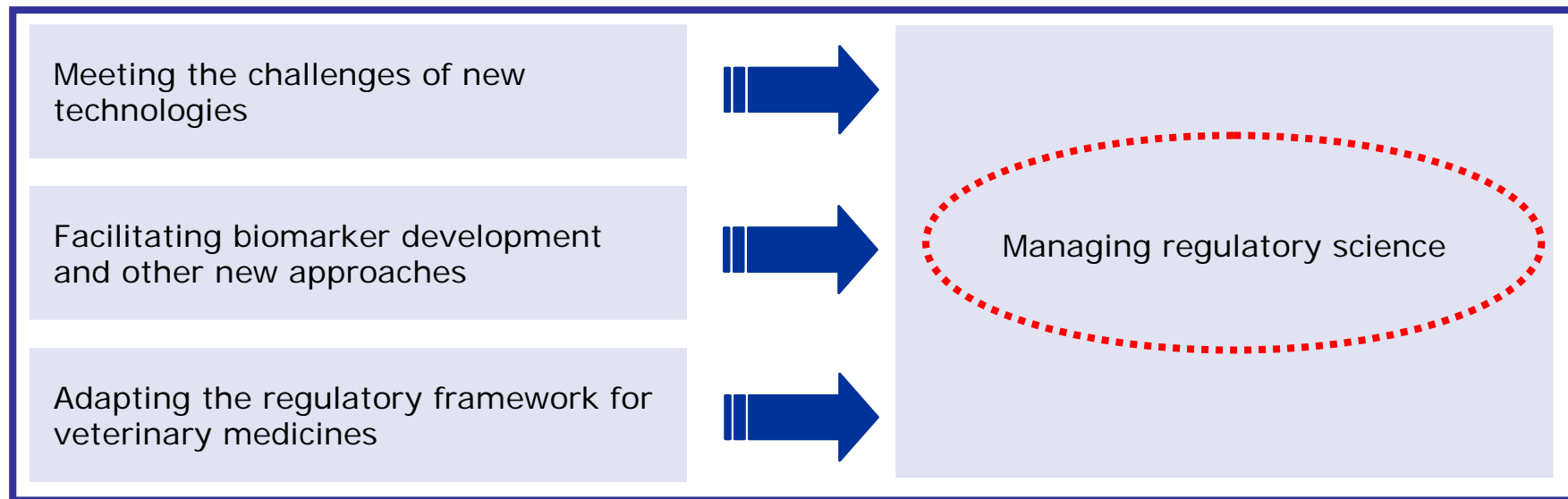
Facilitating Access to Medicines Medicines-development process

- Updating process for guideline development
- Support to **Advanced therapy**, SME, and orphan applications in the period *between scientific advice and initial application for marketing authorisation*

Tarkoitus on nimetä lääkkeen tulevat arvioijat (viranomaiset/ asiantuntijat) ennen myyntilupahakemuksen valmistumista.

Public health

New and emerging science



Regulatory science tarkoittaa valvonnan tutkimista ja kehittämistä vaikuttavammaksi

Public health

New and emerging science

- Consultation and **interactions with notified bodies** for medical devices for the evaluation of combined ATMPs and ancillary substances
- **Adapting scientific and regulatory guidelines** (e.g. stem cell technology, regenerative and personalised medicines)
- **Qualification of novel methodologies** as support to the Innovative Medicines Initiative (IMI) and Critical Path frameworks.

Lääkkeen perinteinen kehitysmalli joutuu uudelleen tarkasteluun.

| | |
|---|--------|
| Objective | |
| Review the implementation of the Advanced Therapies Regulation and advanced therapy medicinal products processes on the basis of experience gained in the first 4 years of operations | |
| Performance indicators for the objective | Target |
| Contribution to the report of the European Commission on the application of the Advanced Therapies Regulation No (EC) 1394/2007 as foreseen in Article 25 | Q4 |
| Report on the use and implementation status of the ATMP certification procedure published | Q4 |

Yhteenveto

- EMA panostaa voimakkaasti lääkkeiden saatavuuteen
 - Valvonnan vaikutusten ja toimivuuden arviointi
 - Tuotteen pääsyä markkinoille helpotetaan vaiheittaisella hyväksymismenettelyllä?
- Valvonnan kehittäminen vastaamaan uutta teknologiaa ja uudentyyppisiä tuotteita
- Varhainen ja säännöllinen vuorovaikutus lääkkeen kehittäjän kanssa