



Regulatoriska myndigheter bidrar till framgångsrik läkemedelsutveckling

På senare år har alternativen för myndigheternas rådgivning till läkemedelsföretag utökats, med särskilt fokus på mindre och medelstora företag (SMEs). Genom att tidigt definiera en plan för myndighetsinteraktioner kan företaget framgångsrikt dra nytta av detta för att förstå registreringskraven, optimera vägen till godkännande och få kunskap om villkoren för läkemedelssubventioner.

Tidig utvecklingsfas

Företag som uppfyller kraven för SME bör registrera sig snarast hos den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). SMEs har möjlighet att utnyttja en rad förmåner som t.ex. tillgång till dedikerad support från EMAs SME-kontor och 90% avgiftsreduktion för vetenskaplig rådgivning. SME-kontoret erbjuder även gratis konsultation

med experter från EMAs olika vetenskapliga kommittéer kring frågor som rör regelverket, krav på dokumentation för olika ansökningar samt lämpliga referensprodukter. Detta är värdefull hjälp för att förstå hur riktlinjerna påverkar utvecklingen av en specifik läkemedelskandidat.

För att få vägledning inför den första studien i människa söker många företag nationell rådgivning i landet där studien ska utföras. I tidig fas är detta ett bra och oftast snabbare alternativ än rådgivning hos EMA.

Om bolaget har en innovativ produkt

Priority Medicines (PRIME) är EMAs procedur för nya lovande produkter inom områden där det finns ett stort medicinskt behov. PRIME-processen ger bolag en möjlighet till kontinuerligt stöd från EMA genom hela utveck-

lingsprocessen. SMEs kan ansöka om PRIME baserat endast på prekliniska data samt tolerabilitetsdata från tidiga kliniska studier. Med PRIME får bolaget tillgång till experter från EMAs olika vetenskapliga kommittéer som ger råd för att optimera utvecklingen.

För företag som utvecklar läkemedel mot sällsynta sjukdomar brukar första kontakten med myndigheten vara ansökan om Orphan drug status, vilket, liksom SME-status, ger avgiftslättnader.

Om företaget utvecklar läkemedel för avancerade terapier (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) kommer första kontakten med EMA vara via ansökan om ATMP-klassificering. För dessa produkter erbjuder EMA också avgiftsfria möten med "Innovation Task Force", en grupp sammansatt av vetenskaplig, regulatorisk

risk och legal expertis, för att diskutera utvecklingsplanerna.

En annan möjlighet som erbjuds SMEs som utvecklar ATMPs är ett certifieringsförfarande som innefattar en vetenskaplig utvärdering av kvalitetsdata och pre-klinisk data. Den processen syftar till att identifiera eventuella problem tidigt, så att de kan lösas innan ansökan om marknadsföringstillstånd lämnas in till myndigheten.

Senare utvecklingsfaser

I senare skeden av produktutvecklingen kan man ibland få motsägande rekommendationer från olika nationella myndigheter. Detta kan hända när det gäller nya verkningsmekanismer, när tydliga riktlinjer inom ett visst terapiområde saknas eller när det finns skillnader i de nationella terapitraditionerna. För att undvika sådana situationer är en vetenskaplig rådgivning från EMA innan de pivotala studierna startar att rekommendera.

EMA erbjuder också parallell vetenskaplig rådgivning tillsammans med European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA) som representerar prissättnings- och subven-

tionsmyndigheter i EU. Ett möte sker samtidigt med flera parter men rekommendationerna kommer från de enskilda myndigheterna. Fördelen med parallella EMA/HTA-möten är att alla parter får insyn i varandras ståndpunkter och krav på evidens som ska tillgodoses. Detta gäller speciellt effektparametrar, val av patientpopulation och aktiva referensläkemedel. Detta är särskilt värdefullt för terapiområden där det finns få eller inga tidigare beslut angående läkemedelssubventionering. För företaget kan en sådan samverkan ge möjligheten att nå flera mål vid ett rådgivningstillfälle.

Slutsats:

Oavsett om företaget har för avsikt att avyttra ett projekt efter en viss utvecklingsfas eller planerar att själva marknadsföra sin produkt, är en tydlig regulatorisk strategi med en plan för myndighetsinteraktioner värdefull för både företaget och potentiell partner. Det sparar både tid och pengar och säkerställer att myndigheternas krav uppfylls.

Tipsruta



Optimera era interaktioner med regulatoriska myndigheter

- Finns det en optimal sekvens för interaktioner?
- Vad är tidsplanerna för interaktioner med myndigheter?
- Vilka data behövs innan diskussion med myndigheter?
- Myndigheter svarar på de frågor som ställts – vilka frågor behöver du svar på?
- Har du möjlighet att agera på givna råd från myndigheten?

Inför F2F möte, tänk på:

- De flesta EU myndighetsmöten är 60-90 minuter – maximera din tid för diskussion av frågor genom att optimera din presentation
- Prioritera de punkter som du behöver diskutera
- Öva på din presentation, fundera över sannolika frågor på utvecklingsplanen och förbered svaren
- Planera för och möt deadlines för inlämning av protokoll och uppföljning av all information som efterfrågas.

Vår samarbetspartner

Om NDA Group

NDA Group är ett ledande konsultföretag inom läkemedelsutveckling, med tonvikt på regulatoriska krav och processer. Företaget har kontor i Europa och USA och erbjuder kvalificerade tjänster inom regulatorisk rådgivning för klinisk forskning och utveckling, rådgivning inom farmakovigilans, och inom prissättnings- och subventioneringsfrågor. Under de senaste fem åren har NDA stöttat över 40% av de nya produkter som godkänts i Europa.

Kontakt:

Eva Lilienberg
Service Area Lead
*Global Development/
Translational Sciences*

+46 (0) 8 590 79587
eva.lilienberg@ndareg.com
Web: www.ndareg.com



Kontakt

SwedenBIO
Wallingatan 24
111 24 Stockholm

Telefon: +46(0)8-21 66 20
info@swedenbio.se

swedenBIO
The Swedish Life Science Industry Organization