



Регуляторные меры для повышения доступности орфанных лекарств

▪ Равиль Ниязов

Телеграм-канал https://tglink.ru/meta_ph

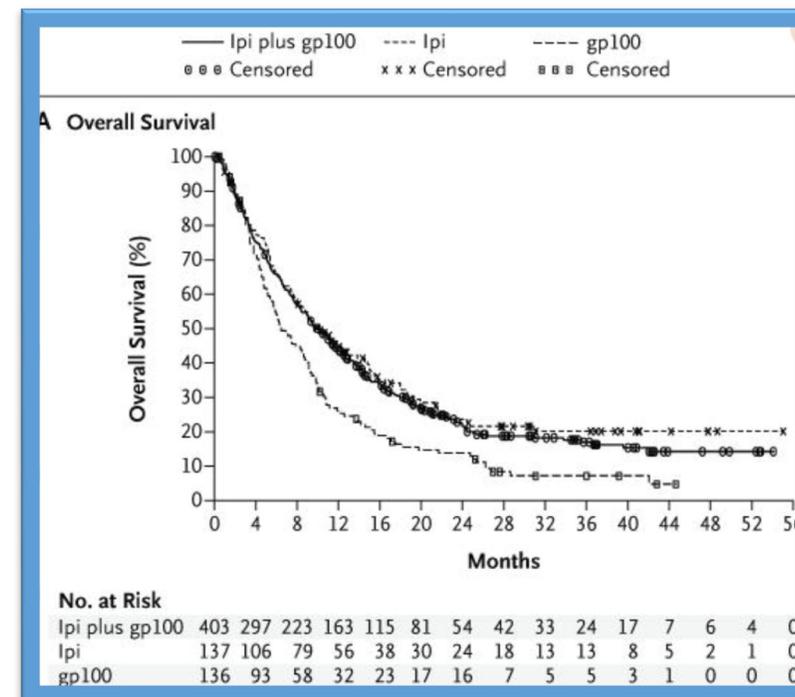
ЦЕНТР
НАУЧНОГО
КОНСУЛЬТИРОВАНИЯ

Ипилимумаб: 5 потерянных пациентами лет



Ситуация в России в 2011

- 8717 новых случаев меланомы, из них 2250 метастат.¹
 - Медиана выживаемости при метастатической меланоме 6,4 мес., т.е. около 50% пациентов умирает в течение полугода³
- В 2011-2016 гг. ипилимумаб **могли получить 11 000** (2250×5) пациентов с метастатической меланомой
 - Лечение **добавило бы** суммарно 44 000 месяцев жизни
 - Медиана выживаемости на фоне ипилимумаба 10 мес.
 - Для таких тяжелых пациентов могла быть достигнута 47,3% 1-летняя выживаемость и 28,5% 2-летняя выживаемость, 7-летняя выживаемость могла достигать 17-20%
- RosOncoWeb: в 2011-2016 гг. в России **только 324 пациента** получили лечение на основе ипилимумаба в рамках **расширенного доступа**



¹ Чиссов В.И., Савинцев А.В., Петрова Т.С., ред. «Онкологические новообразования в России в 2011 году». М.: ФГБУ «МНИОИ им. П.А. Герцена» Минздравсоцразвития России, 2012.

² Чиссов В.И., Савинцев А.В., Петрова Т.С., ред. «Онкологические новообразования в России в 2011 году». М.: ФГБУ «МНИОИ им. П.А. Герцена» Минздравсоцразвития России; 2012.

³ Manola, J., Atkins, M., Ibrahim, J., & Kirkwood, J. (2000). *Prognostic Factors in Metastatic Melanoma: A Pooled Analysis of Eastern Cooperative Oncology Group Trials. Journal of Clinical Oncology, 18(22), 3782-3793.* doi:10.1200/jco.2000.18.22.3782

Hodi FS, O'Day SJ, McDermott DF, et al. Improved survival with ipilimumab in patients with metastatic melanoma [published correction appears in N Engl J Med. 2010 Sep 23;363(17):1290]. *N Engl J Med.* 2010;363(8):711-723. doi:10.1056/NEJMoa1003466

Проблемное определение



Россия

- **орфанные лекарственные препараты**
 - лекарственные препараты, предназначенные *ИСКЛЮЧИТЕЛЬНО* для диагностики или патогенетического лечения (лечения, направленного на механизм развития заболевания) редких (орфанных) заболеваний
- **Редкими (орфанными) заболеваниями являются заболевания, которые имеют распространенность не более 10 случаев заболевания на 100 тысяч населения**
 - 1 на 10 тысяч населения

Евросоюз

- **1. Лекарственный препарат должен быть номинирован в качестве орфанного, если его спонсор сможет установить:**
 - (а) что он предназначен для диагностики, профилактики или лечения жизнеугрожающего либо хронически инвалидизирующего состояния, поражающего не более 5 на 10 тысяч человек в Сообществе на момент подачи заявления,
 - или (!)
 - что он предназначен для диагностики, профилактики или лечения жизнеугрожающего, серьезно инвалидизирующего либо серьезного и хронического состояния в Сообществе и что без стимулирующих мер маловероятно, что продажа лекарственного препарата в Сообществе позволит получить достаточный доход, обосновывающий необходимые вложения;
 - и
 - (b) что отсутствует удовлетворительный метод диагностики, профилактики или лечения рассматриваемого состояния, разрешенный в Сообществе, либо — при наличии такого метода, — что такой лекарственный препарат принесет существенную пользу лицам, пораженным таким состоянием.

Отягчающие и бесполезные требования

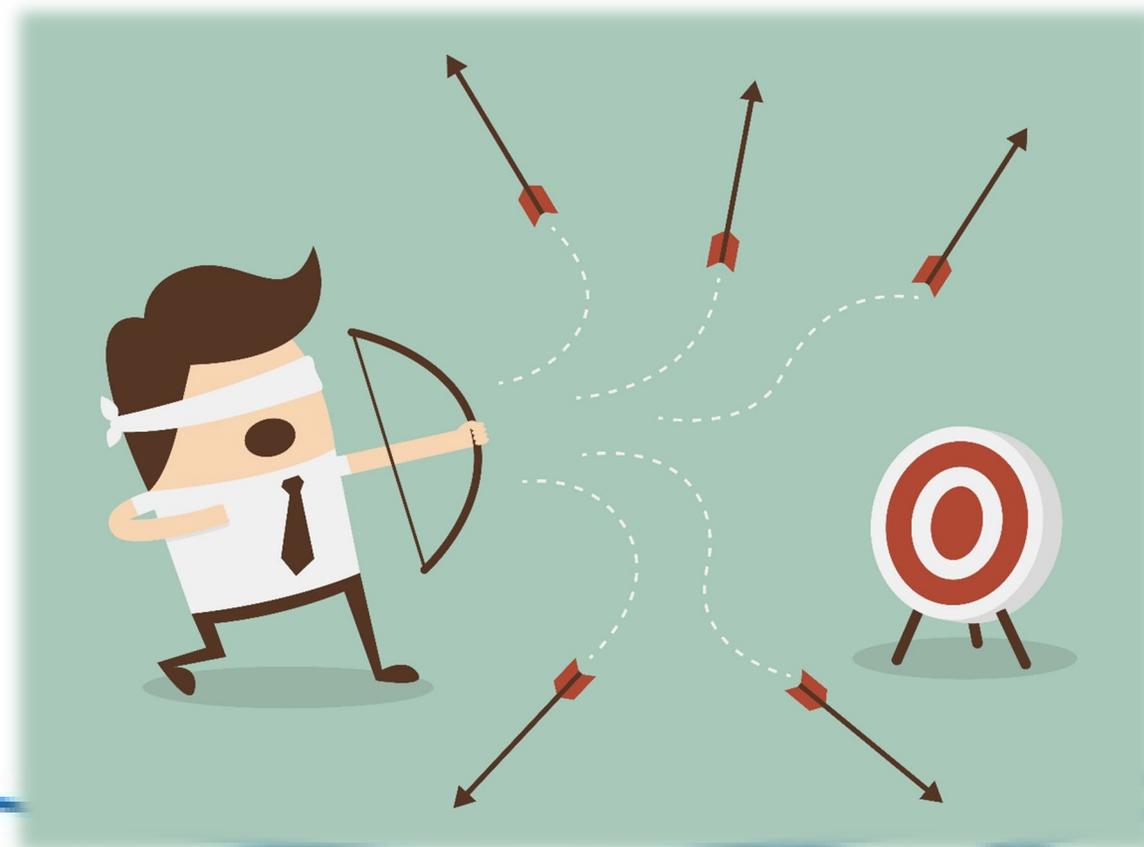
Россия	ЕС/США/Канада/Австралия/Япония/Бразилия
Сплошная <u>предрегистрационная</u> лабораторная фармацевтическая экспертиза	Проводится в очень редких случаях, избирательно
Локальное GMP <i>Должно быть на основе рисков</i>	Система признания зарубежных GMP
Локальное КИ <i>Должно быть инспектирование зарубежных КИ на основе рисков</i>	Признание зарубежных КИ, если соответствуют GCP и ICH E5
Составление нормативной документации (НД) в <u>дополнение к спецификациям</u> <i>Отказ от НД ни на что не повлияет</i>	В мире такая практика отсутствует
Использование государственной фармакопеи, которая не гармонизирована, тексты крайне некачественные	Фармакопеи этих стран во многом гармонизированы между собой
Полная пошлина	Скидки или отмена сборов/пошлин

Провал в экспертизе – первый барьер для отечественных орфанных генериков и биоаналогов



- Научная экспертиза на низком уровне
- Явное отставание в области
 - ранней доклинической и клинической разработки
 - молекулярной фармакологии и трансляционной медицины
 - фармакогеномики
 - фармацевтического качества, включая вопросы проектирования качества (QbD), аддитивного производства [3D-печати] и непрерывного производства
 - биотехнологии, клеточной технологии и геной инженерии
 - биостатистики (включая комплексные дизайны)

т. е. в тех дисциплинах, которые могут обеспечивать прорыв в фармакологии и медицине



Локальные исследования: псевдоуступка для орфанных

- Мера «поддержки» в виде освобождения от необходимости локальных КИИ правильнее рассматривать как создание еще более невыгодного положения для неорфанных лекарств, нежели стимулирующую меру для орфанных препаратов



Какой реальной регуляторной поддержки не хватает?

- **Изменение определения**
 - в т. ч. эпидемиологический порог отсечения
- **Отмена избыточных требований**
 - предрегистр. лаб. экспертизу, составление НД и соответствие негармонизированной гос. фармакопее
- **Признание GMP**
- **Отмена локальных КИ для любых лекарств**
 - если это не продиктовано научными соображениями
- **Научное консультирование**
 - В ЕС: отдельный комитет по орфанным лекарствам
- **Самостоятельная процедура признания орфанного статуса без связи с**



Проблемы

- **Требования к орфанным лекарствам не гармонизированы**
 - В России отсутствует самостоятельная процедура орфанной номинации → регистрация орфанных препаратов может остановиться в 2021 г.
- **Все те же проблемы, что и в России**
 - Изменения целесообразны уже в рамках союзного законодательства

Возможности

- **Разрабатываются подходы к ускоренному доступу**
 - В обоснованных случаях возможен меньший объем клинических данных перед регистрацией
- **Рассматривается возможность расширенного доступа**
 - В обоснованных случаях допускается применение изучаемого в КИ лекарства до его регистрации пациентами, которые не смогли войти в КИ

PhED Pharmaceutical Education & Development Информационно-образовательный ресурс

PhED 1.75K subscribers SUBSCRIBE

HOME VIDEOS PLAYLISTS COMMUNITY CHANNELS ABOUT

О канале 1,090 views • 1 year ago

FEATURED CHANNELS emainfo SUBSCRIBE

Created playlists

- Gene and cell therapy VIEW FULL PLAYLIST
- Биостатистика VIEW FULL PLAYLIST
- Combination products VIEW FULL PLAYLIST
- Marketing authorisation procedures
- Regulatory Affairs: EAEU and Russia

телеграм: t.me/meta_ph

ЦЕНТР
НАУЧНОГО
КОНСУЛЬТИРОВАНИЯ

PhA PharmAdvisor info@pharmadvisor.ru поиск по сайту...

Каталог Открытый доступ Поиск по тегам Войти

Вы — специалисты в создании лекарств

Наша задача — дать вам инструмент, чтобы разобраться в сложной законодательной, административной и научной инфраструктуре

PharmAdvisor — первая в России библиотека, содержащая более 300 нормативно-правовых актов, а также научных и административных руководств ICH, ЕС и США