

### **Wat vooraf ging**

In 2011 werd de invulling van het programma 'Goed gebruik geneesmiddelen' ("GGG") in de steigers gezet. Eén van de onderwerpen die in dit programma aan de orde diende te komen was het beter gebruik maken van geneesmiddelen die al in de handel waren (geweest). Dit idee heeft geleid tot een onderzoek naar het fenomeen van Drug Rediscovery, gedefinieerd als het ontwikkelen en registreren van ongeregistreerde toepassingen van geneesmiddelen met bekende werkzame stoffen.

Uitgangspunt voor het onderwerp Drug Rediscovery in het kader van GGG is het rapport 'Stimulering van Drug Rediscovery', waarin geanalyseerd is welke belemmeringen in de weg staan aan Drug Rediscovery en in welke richting de oplossingen voor het wegnemen van die belemmeringen gezocht moet worden. Het rapport is door de auteurs gepresenteerd in een invitational conference op 3 februari 2012.

Op basis van de in het rapport gesignaleerde belemmeringen en oplossingsrichtingen is op 19 november 2012 een workshop georganiseerd, waarin aan de hand van verschillende voorbeelden met stakeholders gediscussieerd werd over de praktische aanpak van Drug Rediscovery. In de periode sindsdien is nog nader overleg gevoerd met enige belangrijke stakeholders.

### **GGG-conferentie op 31 januari 2013**

Met betrekking tot het onderwerp Drug Rediscovery zal de GGG-conferentie zich vooral richten op informatieoverdracht over wat Drug Rediscovery is en waarom het de aandacht van stakeholders waard is en op de presentatie van de voorziene vervolgvactiteiten. Een en ander zal worden gepresenteerd door Pieter Stolk en John Lisman en worden besproken door vertegenwoordigers van het ministerie van VWS, het CBG en de IGZ.

### **Vervolgactiviteiten Drug Rediscovery**

De activiteiten binnen het kader van het programma GGG hebben geleid tot de identificatie van vervolgvactiteiten op drie verschillende terreinen: (I) onderzoek/analyse (zie hieronder: 1, 4 en 6); (II) communicatie/educatie (zie hieronder: 2 en 3); en (III) ondersteunend beleid (zie hieronder punt 5 plus de uitkomsten van 6). In het navolgende zal in chronologische volgorde worden weergegeven tot welke vervolgvactiteiten besloten is.

1. *Onderzoek naar de kwaliteit van en de deficiënties in aanvraagdossiers die bij het CBG binnenkomen.*

In en na de workshop is door het CBG aangegeven dat de dossiers bij aanvragen die niet afkomstig zijn van de reguliere aanvragers soms matig van kwaliteit zijn en dat soms onderdelen ontbreken, ondanks de mogelijkheid die het CBG biedt tot het geven van *scientific advice* en *presubmission advice*. Dit kan ertoe leiden dat de dossiers op initiatief van het CBG aangevuld en verbeterd worden of dat de aanvraag afgewezen moet worden. De kwaliteit en de kwaliteitsgebreken van (afgewezen) Drug Rediscovery aanvragen zullen beter in kaart gebracht worden. Het onderzoek

zal zich vooral richten op een analyse van daadwerkelijk ingediende (Drug Rediscovery) dossiers.

Actor: CBG in opdracht van VWS

Planning: oplevering 1 augustus 2013

## 2. *Versterking regulatoire informatieuitwisseling*

Op dit moment is het voor partijen – wetenschappers of kleine ondernemingen – die starten aan een Drug Rediscovery traject veelal niet duidelijk welke problemen zij op hun pad kunnen verwachten en wat de rol van organisaties als het CBG kan zijn tijdens de ontwikkeling en het opzetten van het dossier. Dit hangt samen met het feit dat deze partijen geen *repeat players* in het registratieproces zijn en weinig ervaring hebben met het registratietraject. Het ontbreekt aan bruikbare informatie: op de website van het CBG wordt bijvoorbeeld nauwelijks informatie geboden over *scientific advice* die het kan bieden of over de eisen waaraan klinisch onderzoek dat ten behoeve van registratie verricht wordt moet voldoen. Ook kan het voor bij Drug Rediscovery betrokken partijen lastig zijn om de aan het CBG voor te leggen vragen te formuleren op een dusdanige wijze dat er een nuttige bijdrage aan het ontwikkelingstraject aan ontleend kan worden.

Versterking van de communicatie met het veld kan een stimulans zijn voor Drug Rediscovery. Veldpartijen dienen zich niet alleen bewust te zijn van de mogelijkheid over hun plan met het CBG te overleggen, maar ook in staat gesteld om daadwerkelijk een nuttige dialoog aan te gaan. Daarom wordt bij het CBG een 'DR-loket' ingericht, waar voorstellen voor Drug Rediscovery vrijblijvend besproken kunnen worden. Op deze wijze kan een veel beter gebruik gemaakt worden van de instrumenten van *Scientific Advice* en *presubmission advice*. Verder zouden speciale tarieven geïntroduceerd kunnen worden voor *scientific advice* en *protocol assistance* door (medewerkers) van het CBG in het geval van Drug Rediscovery. De voor reguliere cliënten van het CBG gehanteerde tarieven voor ondersteuning, kunnen een barrière vormen voor bedrijven uit het MKB. Dit kan ook voordelig zijn voor het CBG, omdat de kwaliteit en de beoordeelbaarheid van uiteindelijk ingediende aanvragen hierdoor verbeterd zal worden.

Actor: CBG in opdracht van VWS

Planning: oplevering 1 oktober 2013

## 3. *Cursus en training*

Bij partijen die zich met Drug Rediscovery bezighouden bestaat een behoefte aan betere ondersteuning bij de eerste stappen van het onderzoek en de opbouw van het dossier. Hiervoor zal een cursus georganiseerd worden, die zich vooral richt op de noodzakelijke vaardigheden om een goed dossier te produceren. De exacte focus van de trainingen kan bepaald worden met behulp van de analyse van de (afgewezen) dossiers van het CBG (item 1.).

Actor: opdrachtnemer in opdracht van VWS in samenwerking met CBG

Planning: start cursus 1 oktober 2013

## 4. *Analyse omvang van onvoltooide Drug Rediscovery trajecten eindigend als apotheekbereidingen*

Uit eerdere analyses is bekend dat verschillende geneesmiddelen, waarmee een Drug Rediscovery traject gestart is, uiteindelijk niet tot een geregistreerd

geneesmiddel leiden, maar dat het ontwikkelde product als apotheekbereiding op de markt gebracht worden. De mogelijkheid dat een geneesmiddel via een apotheekbereiding in de handel gebracht kan worden, is een belemmering voor de ondernemer die beoogt een handelsvergunning voor de nieuwe toepassing te verkrijgen. Op dit moment is nog niet helder hoe groot de volumes zijn voor deze 'onvoltooide' Drug Rediscovery trajecten. Met een kwalitatieve en kwantitatieve analyse van marktgegevens wordt dit hiaat opgevuld.

Actor: opdrachtnemer in opdracht van VWS/ZonMw

Planning: oplevering 1 augustus 2013

5. *Herziening beleid met betrekking tot apotheekbereidingen*

Een belangrijke belemmering voor Drug Rediscovery is het alternatief van het in de handel brengen van een geneesmiddel als apotheekbereiding. Hoewel apotheekbereidingen van belang zijn om bij het ontbreken van een industrieel bereid en door de bevoegde autoriteiten toegelaten geneesmiddel een alternatief te bieden, is het door een bereidingsapotheek geproduceerde en via collegiale levering ter hand te stellen geneesmiddel ook een onrechtmatige concurrent voor degene die voor de desbetreffende toepassing een handelsvergunning wil aanvragen. De circulaire van de IGZ met betrekking tot grootschalige bereidingen verliest haar geldigheid op 22 augustus 2013. De circulaire die vanaf die datum in werking treedt zou gebaseerd kunnen worden op een sterke voorkeur voor geregistreerde geneesmiddelen en afwijzing van apotheekbereidingen die in de plaats kunnen komen van geneesmiddelen die in het handelskanaal beschikbaar zijn. Het in de nieuwe circulaire vervatte beleid kan wellicht ook aanleiding zijn voor aanpassing van het wettelijk systeem van de Geneesmiddelenwet, zodat een betere aansluiting met de praktijk wordt gevonden.

Actor: IGZ in overleg met VWS

Planning: nieuwe circulaire 22 augustus 2013, aansluitend ontwikkeling aangepaste wetgeving.

6. *Analyse mogelijke financiële knelpunten (vergoedingsstatus, terugverdienmodel en 'business case' voor Drug Redicoverly).*

Tijdens de workshop is door veel deelnemers gewezen op het bestaan van financiële knelpunten. Het gaat om het ontbreken van een haalbaar terugverdienmodel en om *concurrentie* van geneesmiddelen die als grootschalige apotheekbereiding in de handel worden gebracht met geregistreerde of te registreren geneesmiddelen. In het verlengde van de recente workshop, waarin gekeken is naar de belangrijkste belemmeringen voor registratie, wordt onderzoek gedaan met als aandachtsgebied de knelpunten rond de vergoeding en incentives om tot de start van een Drug Rediscovery project over te gaan. Belangrijkste voorwerp van onderzoek is de vorming van een duurzame *business case*. Hierbij zal bijzondere aandacht uitgaan naar de vergoeding van apotheekbereidingen, mogelijke voorlopige vergoeding tijdens de ontwikkelingsfase, dus vóór verlening van de handelsvergunning, en instrumenten als specifieke subsidieregelingen, kredieten of een innovatiefonds.

Actor: Opdrachtnemer in opdracht van VWS

Planning: indiening rapport 1 december 2013