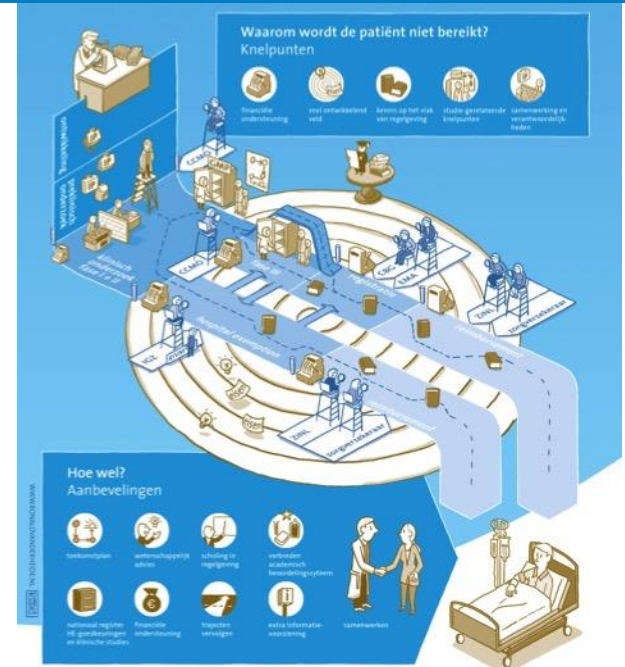


Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) naar de reguliere klinische zorg

Knelpunten en Mogelijkheden

Pauline Meij

LUMC



Disclosure belangen spreker

(potentiele) belangenverstrengeling	Geen
Voor bijeenkomst mogelijk relevante relaties met bedrijven	Geen
• Sponsoring of onderzoeksgeld • Honorarium of andere (financiële) vergoeding • Aandeelhouder • Andere relatie, namelijk....	n.v.t.

Achtergrond en introductie

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP)

- Gentherapie producten
- Tissue engineering producten
- Celtherapie producten

(wanneer substantieel gemanipuleerd of voor niet-homoloog gebruik)

Achtergrond en introductie

EU sinds 2009

- EudraCT: $\pm$ 300 klinische studies met ATMPs (zonder fase I)
- EMA: 185 *Scientific Advice Procedures* betreffende ATMPs
- 6 ATMPs marketing autorisatie,
 - 1 teruggetrokken, 1 tijdelijk teruggetrokken

Situatie in Nederland

- NPK (2005-2012): verbetering preklinisch $\rightarrow$ klinisch fase I/II onderzoek
- Sinds 2009: $\pm$ 65 klinische studies (vooral academische centra)

Mogelijkheden klinische toepassing ATMPs in NL

- Binnen klinisch onderzoeksverband
- Als geregistreerd geneesmiddel (Marketing Authorization (MA))
- Binnen de Hospital exemption procedure
 - I. 10 patiënten of maximaal 1 jaar
 - II. 50 patiënten of maximaal 1 jaar
 - Productie van ATMPs in centra, waar klinisch studie is uitgevoerd
 - ATMP productie onder GMP certificering
 - Verlenging

Doel van dit onderzoek

Hoe staat het met de doorontwikkeling van ATMPs richting de patiënt na fase I/II klinisch onderzoek?

Hoe komen veilige en effectieve ATMPs beschikbaar voor de patiënt?

Vragen

1. Wat is de huidige stand van zaken in Nederland?
2. Welke knelpunten worden ervaren door stakeholders in het veld?
3. Hoe is de structuur in Nederland, is deze voldoende?
4. Is er behoefte aan extra informatievoorziening?
5. Hoe kan het traject verbeterd worden?

Methode

Interviews

- Academische onderzoeksgroepen (29)
- *not-for-profit* GMP faciliteiten

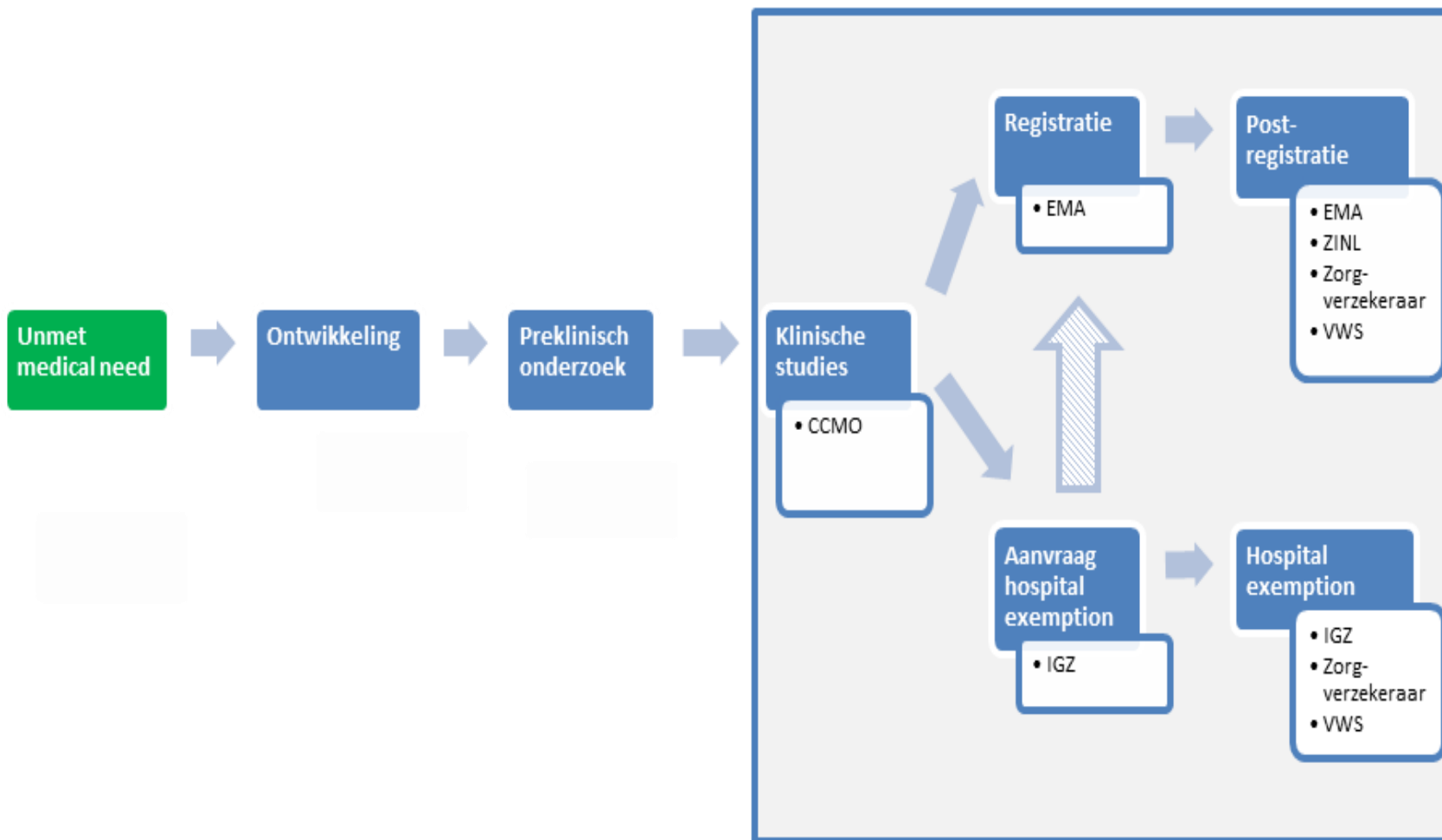
- SMEs (5)
- Patiëntenorganisaties
 - VSOP en 'Leven met Kanker'
- Regelgevende/ beoordelende instanties
 - CCMO, IGZ, RIVM, CBG en VWS
- Zorginstituut Nederland en verzekeraar (Zilveren Kruis/Achmea)

Stakeholders

Enquêtes

- Academische onderzoekers (19)
- Academische GMP faciliteiten (7)

Structuur ontwikkeling ATMP in Nederland

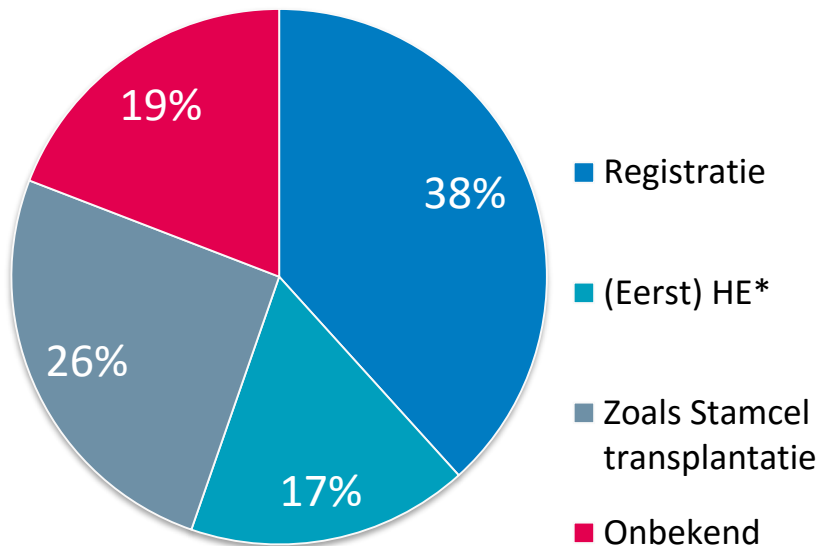


Resultaten - Hoe naar de patiënt

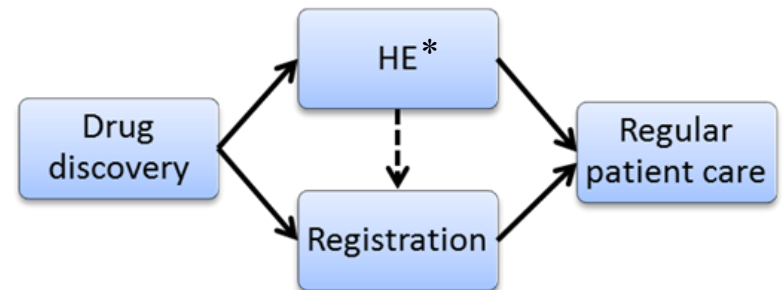
Hoe wil men de patiënt bereiken na succesvolle fase I/II studies?

Onderzoeksgroepen

Persoonlijke meningen



Stakeholders



Knelpunten

Knelpunten geïdentificeerd onderverdeeld in 5 categorieën



financiële
ondersteuning



snel ontwikkelend
veld



kennis op het vlak
van regelgeving



studie-gerelateerde
knelpunten



samenwerking en
verantwoordelijk-
heden

*

(1)

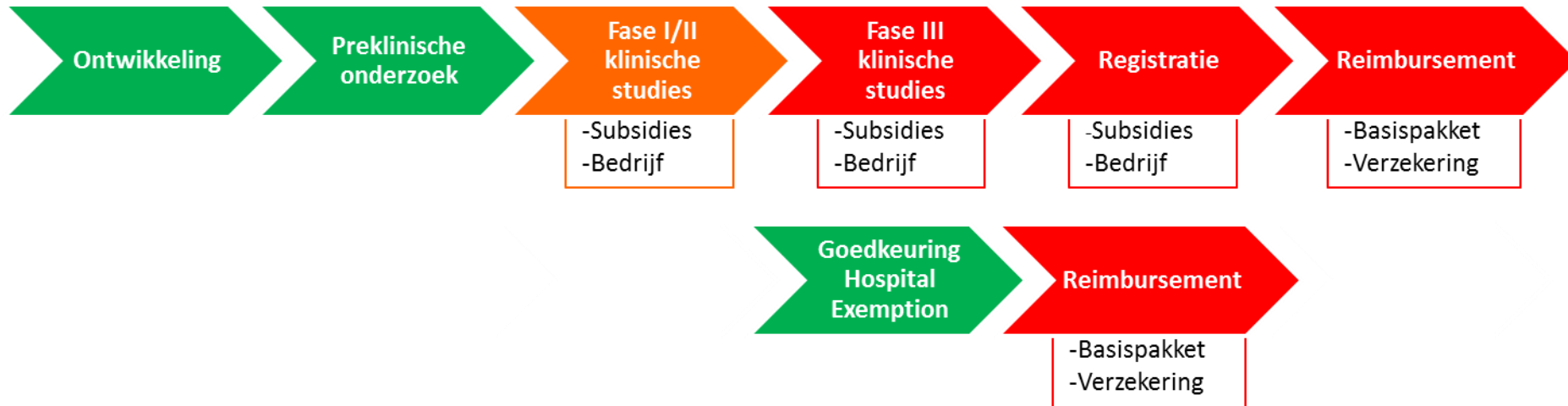
(2)

(3)

(4)

(5)

Knelpunt (1) – Onvoldoende financiële ondersteuning



Knelpunt (2) – Snel ontwikkelend veld

Onderzoeksgroepen/GMP faciliteiten / SMEs

- Lang ontwikkelingstraject
- Aanpassingen productieproces
- Aanpassingen product
- Ingehaald door de tijd

Stakeholders

- Veranderingen mogelijk
→ Risico op 'ander' product

Knelpunt (3) – Onvoldoende kennis van de regelgeving

Onderzoeksgroepen/GMP faciliteiten

- Ontbrekende en niet beschikbare kennis
- Lastig veld om te overzien

→ SMEs: geen problemen

Stakeholders

- Ontbrekende kennis → onderschatting van de route

Knelpunt (4) – Studie gerelateerde problemen

Onderzoeksgroepen/GMP faciliteiten / SMEs

- Beschikbaarheid materialen
- Inclusie van patiënten
- Publicaties

Stakeholders

- Klinische studies
 - Effectiviteit
 - Risk-assessment
- Inclusie van patiënten
- Publicaties

Knelpunt (5) – Samenwerking en verantwoordelijkheden

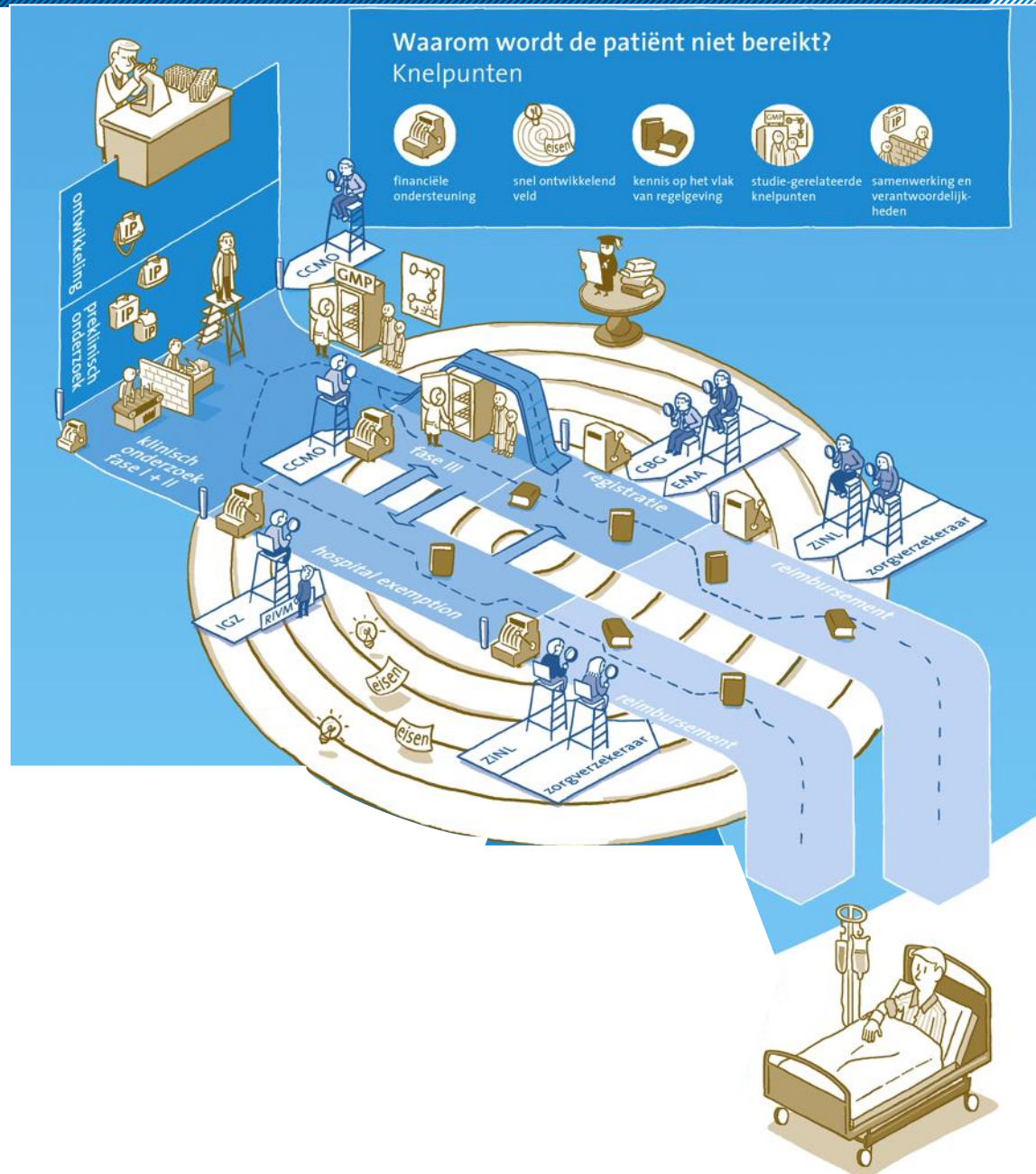
Onderzoeksgroepen/GMP faciliteiten

- *Intellectual Property*
- Verantwoordelijkheden:
verschillende partners

Stakeholders

- Geen duidelijk toekomstplan

ATMPs bereiken de patiënt in onvoldoende mate



Aanbevelingen (1)

Toekomstplan

- Business plan / target product profile (TPP)
 - Welke indicatie / Hoeveel patiënten / Multicenter
 - Productiekosten
 - Samenwerkingen
 - Hoe ga ik mijn product bij de patiënt brengen

Wetenschappelijk advies – Samenwerking stakeholders – Stand van de wetenschap en praktijk

- Advies op maat – CBG
- Betere samenwerking tussen ketenpartners
- Verschil medisch-ethische toetsing / toetsing voor MA / Stand van de wetenschap en praktijk

Aanbevelingen (2)

Publicatie

- Aanpassen academische beoordelingssysteem
 - Belonen 'mijlpalen' in productontwikkeling

Scholing

- Scholing: productontwikkeling
- Aanbieden juiste scholing → probleemgericht onderwijs

Financiële middelen

- Toepassen bovenstaande punten → samenwerkingen die leiden tot financiële ondersteuning
- Rol overheid en subsidieverstекkers om academische instellingen financieel hierin te ondersteunen.

Register

- (Inter)nationaal register - overzicht klinische studies en *Hospital Exemptions*

Vervolg onderzoek

Verder volgen structuur en ontwikkelingstrajecten

- Volgen van de huidige routes
- Route naar vergoeding geschikt voor ATMPs?

Informatievoorziening

- Wat is de meeste efficiënte vorm van informatievoorziening

Veld in de EU

- Volgen ontwikkelingen en initiatieven op dit gebied in ander EU lidstaten

Toekomst

- Productiecapaciteit? → Noodzaak opzetten niet-commerciële productiefaciliteiten?

Aanbevelingen



toekomstplan



wetenschappelijk
advies



scholing in
regelgeving



verbreden
academisch
beoordelingssysteem



nationaal register
HE-goedkeuringen
en klinische studies



financiële
ondersteuning



trajecten
vervolgen



extra informatie-
voorziening

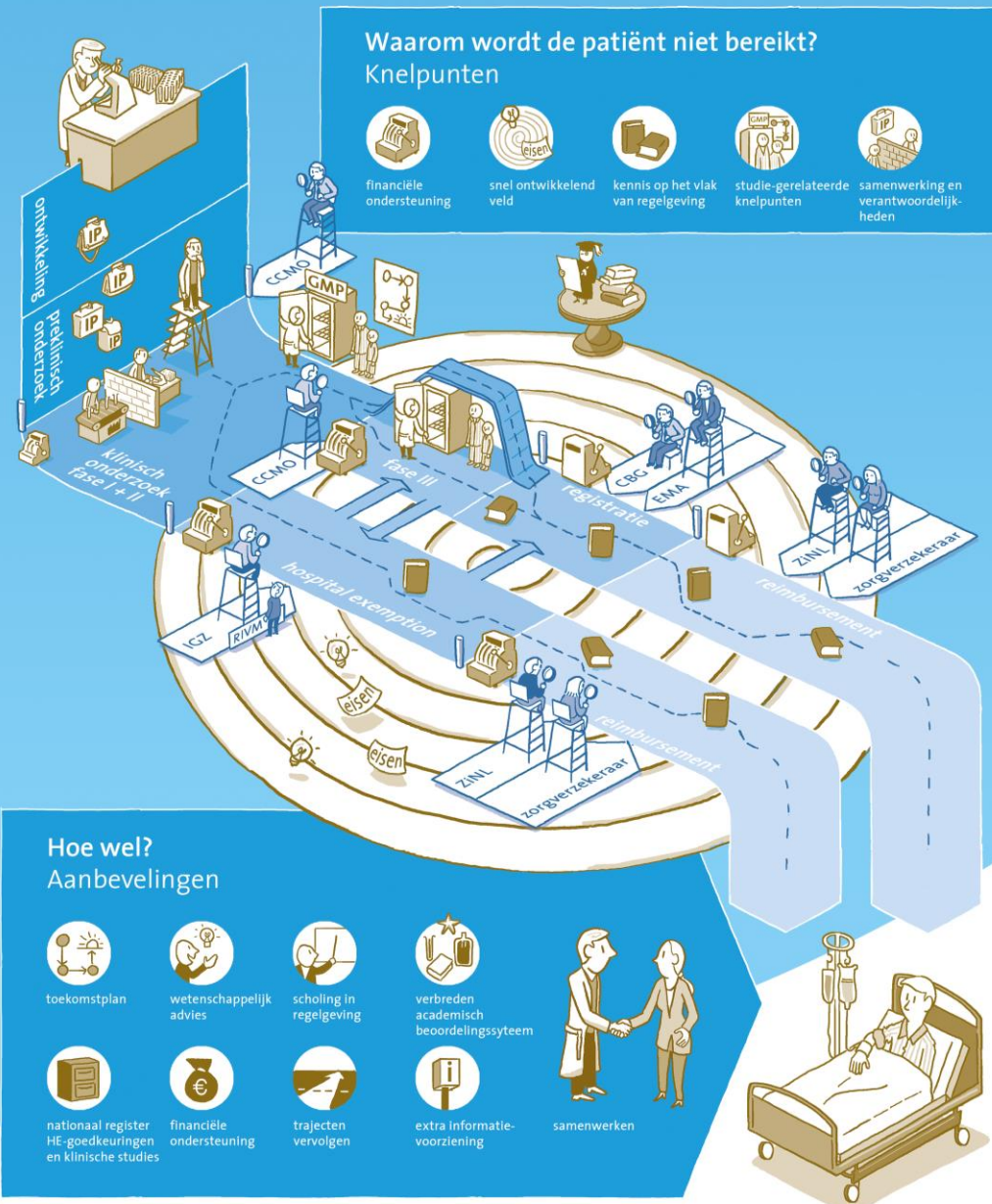


samenwerken

*

ATMPs in de klinische zorg

Hoe bereiken we de patiënt?



Rapport

Rapport zal vanaf vrijdag 8 april beschikbaar zijn op de website van het LUMC

www.lumc.nl/actueel

Acknowledgement

Klinische Farmacie en Toxicologie, LUMC

- Louise Veltrop-Duits
- Sofieke de Wilde
- Maarten Zandvliet
- Henk-Jan Guchelaar



- Janine Blom



- Merel Hoozemans-Strik
- Margreet Verboom

Begeleidingscommissie

- Joop van den Wijngaard, VWS
- Frank van Linden, VWS
- Harrie Storms, VWS
- Ger Olthof, VWS
- Annie Rietveld, IGZ
- Arnold Vulto, Erasmus MC
- Ineke Slaper, UMC Utrecht

Iedereen die bijgedragen heeft aan de interviews en enquête

Contact:

Pauline Meij

p.meij@lumc.nl