



εθνικός
οργανισμός
φαρμάκων

national
organisation
for medicines

ΠΑΡΗΓΟΡΗΤΙΚΗ ΘΕΡΑΠΕΙΑ Ή ΠΡΩΙΜΗ ΠΡΟΣΒΑΣΗ ?



Δρούσκα Σοφία, MSc Κλινικής Φαρμακευτικής
Τμήμα Ανεπιθύμητων Ενεργειών, ΔΦΜΕ-ΕΟΦ
Υπεύθυνη αξιολόγησης αιτημάτων πρώιμης πρόσβασης σε φάρμακα ανθρώπινης χρήσης

Αποσαφήνιση των όρων

Κοινοτικό θεσμικό πλαίσιο για
διευκόλυνση στην έγκαιρη πρόσβαση

timely access

- Επιταχυνόμενη αξιολόγηση (*accelerated assessment*)
- Υπό αίρεση χορήγηση άδειας κυκλοφορίας
(*conditional marketing authorisation*)
- Παρηγορητική χρήση (*Compassionate use*)
**η ευκαιρία του ασθενή να έχει πρόσβαση σε μια μη εγκεκριμένη
θεραπεία**

Κοινοτικός Κανονισμός - Κατευθυντήρια Οδηγία EMA για παρηγορητική χρήση

- **Θεραπευτική επιλογή για ομάδα ασθενών**
 - νόσο που δημιουργεί χρόνια ή σοβαρή αναπηρία
 - νόσο απειλητική για τη ζωή
 - Δεν υπάρχει άλλη εγκεκριμένη θεραπευτική επιλογή και
 - δεν μπορούν να ενταχθούν σε κλινική μελέτη

➤ Μη εγκεκριμένα Φάρμακα / Μη εγκεκριμένη ένδειξη

(Υπό αυστηρές προϋποθέσεις)

- Σε στάδιο κλινικών μελετών
- Υπό αξιολόγηση στον EMA

❖ Compassionate Use Programs (CUPs)

- Εθνικές Ρυθμιστικές Αρχές
 - Δυνατότητα γνωμοδότησης από τη CHMP
 - Προφίλ ασθενών που μπορούν να ωφεληθούν
 - Τρόπος χορήγησης και διανομής του φαρμάκου
 - Γνωστοποίηση στον EMA για τα υλοποιούμενα CUPs
- !!** Ανάγκη εναρμόνισης εθνικών θεσμικών πλαισίων

❖ Ατομικά Προγράμματα Πρώιμης Πρόσβασης

- **Σαφής διαχωρισμός από τα CUPs**
- Αποκλειστική ευθύνη του θεράποντος ιατρού
- Εξαιρετικά επείγουσα, ειδικά αιτιολογημένη περίπτωση συγκεκριμένου ασθενή
(*named-patient program -NPP*)
- Μεγάλες διαφοροποιήσεις στα Κράτη-Μέλη

Αποκωδικοποίηση εθνικού θεσμικού πλαισίου

Υπουργική Απόφαση ΦΕΚ 558/Β/2011

*Όροι, προϋποθέσεις και διαδικασία χορήγησης
προσωρινής άδειας πρώιμης πρόσβασης σε
φάρμακα ανθρώπινης χρήσης (“παρηγορητική
χρήση”)*

ΟΜΑΔΙΚΑ ΠΡΟΓΡΑΜΜΑΤΑ

➤ Ποια Φάρμακα

- Υπό αξιολόγηση στον EMA **για συγκεκριμένη ένδειξη**
- Ολοκληρωμένες κλινικές μελέτες φάσης III & Δέσμευση υποβολής αιτήματος άδειας κυκλοφορίας εντός 7μηνου για τη συγκεκριμένη ένδειξη
- Περιπτώσεις εγκεκριμένων φαρμάκων σε νέα ένδειξη (υπό αξιολόγηση / ολοκληρωμένες κλινικές μελέτες φάσης III)

➤ Από την αίτηση διεξαγωγής έως την ολοκλήρωση ενός Ομαδικού Προγράμματος

- Πρωτοβουλία του αιτούντα την άδεια κυκλοφορίας / χορηγού της κλινικής μελέτης
- Αξιολόγηση φακέλου – **ακάλυπτη ιατρική ανάγκη εντός 21 ημερών**
- Έκδοση απόφασης και ανάρτηση στην ιστοσελίδα
- Παρακολούθηση των τριμηνιαίων εκθέσεων και της πορείας αξιολόγησης στον EMA
- Αξιολόγηση πιθανών αιτημάτων τροποποίησης των όρων του Προγράμματος / παράτασης
- Ολοκλήρωση Ομαδικού Προγράμματος

➤ Υπεύθυνος Ομαδικού Προγράμματος

Ο αιτών την άδεια κυκλοφορίας / χορηγός της κλινικής μελέτης

- *Κάλυψη του κόστους του φαρμάκου*
- Διασφάλιση της *απρόσκοπτης προμήθειας* του φαρμάκου έως την ολοκλήρωσή του
- Υποχρεώσεις περί φαρμακοεπαγρύπνησης
- Τήρηση αρχείου
- Αποστολή τριμηνιαίων εκθέσεων στον ΕΟΦ
- *Δέσμευση περί μη δημοσιοποίησης των αποτελεσμάτων*

ΑΤΟΜΙΚΑ ΠΡΟΓΡΑΜΜΑΤΑ

➤ Ποια Φάρμακα

- Υπό αξιολόγηση στον EMA για τη συγκεκριμένη ένδειξη
- Ολοκληρωμένες κλινικές μελέτες φάσης III & Δέσμευση υποβολής αιτήματος άδειας κυκλοφορίας εντός 7μηνου για τη συγκεκριμένη ένδειξη
- **Σε περιπτώσεις χαρακτηρισμού Orphan ή Σπάνιου Νοσήματος - Κλινικές μελέτες φάσης II**
- Περιπτώσεις εγκεκριμένων φαρμάκων σε νέα ένδειξη (υπό αξιολόγηση / ολοκληρωμένες κλινικές μελέτες φάσης II/III)
- **Φάρμακο σε CUP ή Υπό αξιολόγηση στον EMA για συγκεκριμένη ένδειξη & κλινικές μελέτες φάσης II για την αιτούμενη (άλλη) ένδειξη**
- **Ασθενής που λάμβανε το φάρμακο στο πλαίσιο κλινικής μελέτης**

➤ Πριν την υποβολή αιτήματος προσωρινής ατομικής άδειας πρώιμης πρόσβασης

Υπεύθυνος προγράμματος: θεράπων ιατρός

- Διερεύνηση της δυνατότητας **ένταξης του ασθενή σε κλινική μελέτη**
- Διερεύνηση της πρόθεσης του αιτούντα την άδεια κυκλοφορίας / χορηγού της κλινικής μελέτης **υλοποίησης Ατομικού Προγράμματος Πρώιμης Πρόσβασης**
- Διερεύνηση της πρόθεσης του αιτούντα την άδεια κυκλοφορίας / χορηγού της κλινικής μελέτης **δωρεάν διάθεσης του φαρμάκου, εάν όχι**

Διαδικασία μέσω ΣΗΠ



➤ Αξιολόγηση του αιτήματος από τον ΕΟΦ

εντός 7 ημερών

- Πληρότητα απαιτούμενων δικαιολογητικών (*αναρτημένα στην ιστοσελίδα του ΕΟΦ*)
- Αξιολόγηση της κλινικής τεκμηρίωσης του φαρμάκου – *ακάλυπτη ιατρική ανάγκη*
- Αλληλογραφία με την εταιρεία
- Έκδοση της απόφασης και αποστολή με ηλεκτρονική αλληλογραφία για εξοικονόμηση χρόνου

➤ **Διαδικασία αυθημερόν έγκρισης αιτημάτων** ατομικής πρώιμης πρόσβασης

Περιπτώσεις επείγουσας ιατρικής ανάγκης (π.χ αιτήματα από ΜΕΘ)

➤ Ολοκλήρωση του ατομικού προγράμματος

ΟΜΑΔΙΚΑ vs ΑΤΟΜΙΚΑ

❖ Από το 2016 έμφαση στην ενθάρρυνση υλοποίησης CUPs

- τα Ατομικά περιορίζονται σε πραγματικά εξαιρετικές / επείγουσες περιπτώσεις
- ευκολότερη πρόσβαση των ασθενών
- η εταιρεία αναλαμβάνει την ευθύνη της προσωρινής αυτής – περιορισμένης κυκλοφορίας του μη εγκεκριμένου φαρμάκου

ORPHAN vs NON ORPHAN

- Πλειοψηφία των αιτημάτων ατομικής πρώιμης πρόσβασης
- Στοχευμένη θεραπευτική προσέγγιση

Από τη δοκιμή στην προοπτική

Κλινικές μελέτες  Εμπορικό φάρμακο

Ο Ρόλος της Ρυθμιστικής Αρχής



ΜΕΛΛΟΝΤΙΚΕΣ ΠΡΟΟΠΤΙΚΕΣ

- Επικαιροποίηση εθνικού θεσμικού πλαισίου
 - Από την έγκριση έως την τιμολόγηση
 - Ο Ρόλος του ΕΟΦ στην Ατομική Πρώιμη Πρόσβαση
 - Αρχείο καταγραφής δεδομένων αποτελεσματικότητας & ασφάλειας – **παράλληλη διασύνδεση με μητρώα ασθενών**
- Εναρμόνιση θεσμικού πλαισίου μεταξύ των Κρατών - Μελών



εθνικός
οργανισμός
φαρμάκων

national
organisation
for medicines

Σας ευχαριστώ για την
προσοχή σας!