



Lægemidler: Godkendelse, ibrugtagning, betaling...

Hvem bestemmer - ?

Lægemidler

- EU: Politisk ønske om rettidig (hurtig) og lige adgang til nye lægemidler til sygdomme med stort behov for ny behandling
- Ved livstruende sygdomme adgang allerede før myndighedsgodkendelse (ex. Ebola)
- Ved livstruende/alvorlige sygdomme hurtig (accelereret) godkendelse i EU
- **Men** nationale regler/økonomi kan stå i vejen for disse overordnede intentioner

Godkendelse versus ibrugtagning

1. Lægemiddelgodkendelse i EU (indre marked)
2. Kriterier for godkendelse (positiv B/R). Prisen er ikke en parameter. Samme kriterier for lægemidler til sjældne sygdomme
3. Fuld godkendelse, godkendelse med betingelser, "exceptional circumstances" godkendelse ?
Adaptiv (trinvis) godkendelse (fremtid)
4. Ibrugtagning/betaling/tilskud er et nationalt anliggende

Lægemiddelgodkendelse - procedurer

1. Den centrale EMA (CHMP) procedure obligatorisk for lægemidler til sjældne sygdomme (og mange andre terapiområder)
2. En fælles ansøgning og udpegning af Rapporteur/co-Rapporteur/peer-reviewer blandt medlemmerne af CHMP (*Committee for Medicinal Products for Human Use*). 28 MS + Norge og Island
3. Den faglige udredning foregår i de nationale lægemiddelmyndigheder. EMA er aktuelt ikke involveret i den videnskabelige udredning.

Godkendelse af lægemidler

- Lægemidlets kvalitet, sikkerhed og virkning
- Kvalitet: farmaceutisk/kemisk eller biologisk vurdering
- Sikkerhed: a) præklinisk: undersøgelser i dyr b) klinisk: i mennesker/patienter
- Virkning: kliniske forsøg i relevant velkarakteriseret patientpopulation

- En undtagelse at lægemidler godkendes uden kontrollerede forsøg (RCT)

Godkendelse (procedure) – 1 trin 90 dage

1. To separate assessment reports
2. Spørgsmål: enten **major objections** (få) eller **other concerns** (mange)
3. Kommentarer fra andre MS + peer-reviewer
4. CHMP godkender spørgsmålsliste til ansøger

Godkendelse

1. Ansøger har højst 6 måneder til svar (clock-stop periode).
2. Rapporteurs skriver en fælles AR
3. A. Alle spm. løst ved B. Fortsat MO (ny runde)

Godkendelse (procedure)

1. Fortsat MO: ansøger har ret til høring i CHMP
2. CHMP kan konsultere Scientific Advisory Group før høring
3. Afstemning i CHMP: Positiv eller negativ udtalelse (appel er mulig)
4. EU-Kommissionen udsteder en markedsføringstilladelse, som er bindende for MS.
5. EPAR frigives (+ produktresumé/indlægsseddel)
6. **National implementation – receptbestemmelse - pris**

Betinget godkendelse

- **Possible if the four criteria are fulfilled**
- The risk-benefit balance of the medicinal product is positive
- It is likely that the applicant will be in a position to provide the comprehensive clinical data
- Unmet medical needs will be fulfilled
- The benefit to public health of the immediate availability on the market of the medicinal product concerned outweighs the risk inherent in the fact that additional data are still required

Tilskud/betaling er et nationalt anliggende!

- EC 's markedsføringstilladelse er bindende for MS **men**
- Ibrugtagning, tilskud/betaling er et nationalt anliggende
- Tilskud/betaling varierer fra MS til MS (NICE i UK)

Godkendte lægemidler til sjældne sygdomme

- Per medio januar 2015: 112 lægemidler med orphan status har opnået en EU-markedsføringstilladelse
- Nogle orphans allerede i brug som magistrelt fremstillede lægemidler – voldsomt prisspring efter EU-godkendelse...

Sundhedsstyrelsens rolle...

- Godkender kliniske forsøg I Danmark
- Involveret i godkendelse af lægemidler i EU
- Beslutter om receptpligtige lægemidler skal have tilskud fra Regionerne ("Tilskudsnævnet")
- Stort set ingen indflydelse på ibrugtagning og betaling af sygehusforbeholdte lægemidler
- Giver udleveringstilladelser til lægemidler uden markedsføringstilladelse

Andre aktører

- **Koordineringsrådet for ibrugtagning af sygehusmedicin (KRIS) under Danske Regioner**
- Ansøgninger fra regionerne, de videnskabelige selskaber og de Danske Multidisciplinære Cancergrupper (DMCG'er)
- Tager stilling til, hvorvidt ny godkendt medicin og nye godkendte indikationsudvidelser skal ibrugtages som standardbehandling.
- Lægemiddeløkonomiske overvejelser spiller stort set ikke ind
- Ingen prioriteringsdiskussion
- Relativt få afslag – men stor forargelse når det sker...

Andre aktører

- **Rådet for Anvendelse af Dyr Sygehusmedicin - RADS**
- RADS skal sikre, at patienter tilbydes lige adgang til behandling med dyr sygehusmedicin under hensyntagen til rationel farmakoterapi
- Samt at der skabes et fælles fagligt nationalt grundlag for anvendelse af dyr sygehusmedicin
- Med det fælles beslutningsgrundlag skabes der samtidig potentiale for at opnå bedre indkøbspriser gennem udbud af medicin gennem **Amgros**, som indkøber sygehusmedicin til regionerne.

Generisk eller biosimilær substitution

- Originalprodukt: databeskyttelse i mindst 10 år (kan forlænges for orphan medicines, børneprogrammer)
- National patentbeskyttelse kan forlænge perioden yderligere (ex. Imatinib)
- Særlige krav for lægemidler fremstillet ved DNA teknologi (biosimilære lægemidler) øger i praksis beskyttelsestiden
- Ud over biosimilært filgrastim (G-CSF) ingen godkendte, specielt ingen monoklonale antistoffer

Konklusioner

- Lægemiddelgodkendelse et EU-anliggende ("Indre marked")
- Ibrugtagning + tilskud/betaling afgøres i nationalstaterne
- Ingen central myndighed/aktør i DK (sygehuslægemidler)
- Sygehusbehandling gratis i DK, årlige forhandlinger mellem staten og Danske Regioner om konsekvenser af nye godkendte lægemidler via EU/KRIS/RADS
- Ibrugtagning sker hurtigt i DK sml. med andre lande men høje medicinpriser
- Intet loft over hvad et lægemiddel må koste
- Ingen prioriteringsdiskussion