

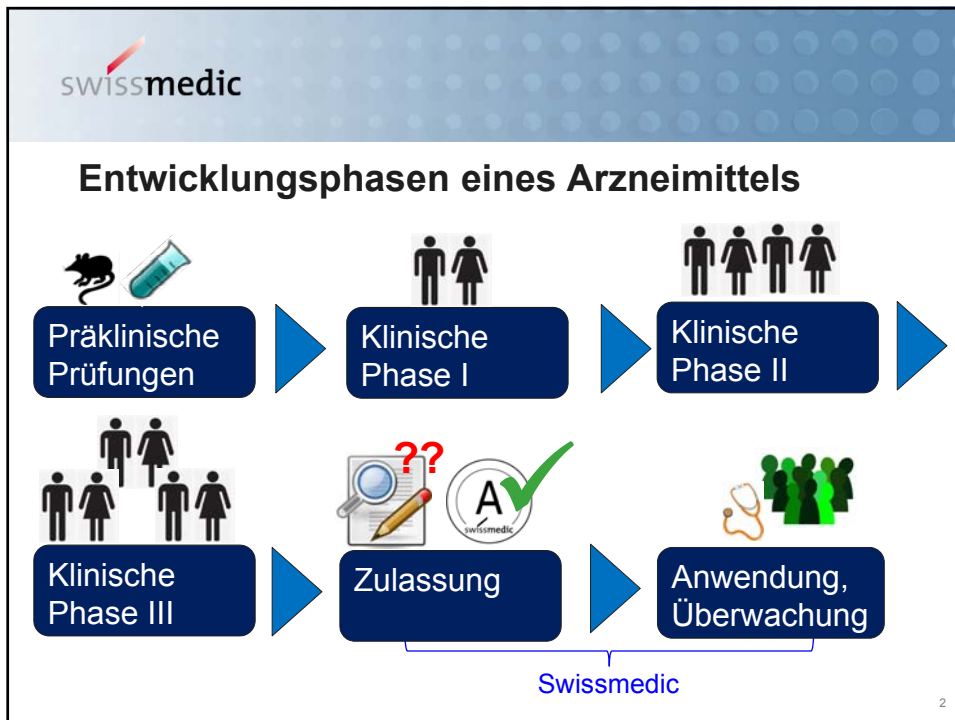
SMA Schweiz Tag 2017
13. Mai 2017 Nottwil

Zulassung von Orphan Drugs in der Schweiz



Carine Werder
Case Manager, Bereich Zulassung

Swissmedic • Schweizerisches Heilmittelinstitut • Hallerstrasse 7 • 3000 Bern 9 • Schweiz • www.swissmedic.ch



 **Wer ist Swissmedic?**

- Schweizerische Zulassungs- und Kontrollbehörde für Heilmittel («Heilmittelinstitut»)
- Unabhängige öffentlich-rechtliche Anstalt des Bundes
- Gegründet im Jahr 2002, hervorgegangen aus IKS (Interkantonale Kontrollstelle für Heilmittel)
- Heilmittelgesetz (HMG) und 1. Ausführungsverordnung in Kraft seit 1. Januar 2002
- Personal: 360 Vollzeitstellen (ca. 430 Pers.)
- Budget 2016: ca. 90 Mio CHF
 - Bundesbeitrag < 20%
 - Gebühren* > 80%

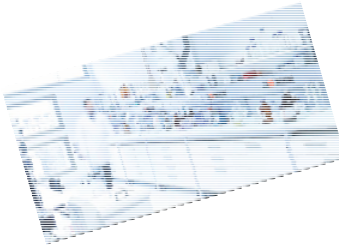


*Verfahrensgebühren, Verkaufsabgaben u.a.

3

 **Welche Aufgaben hat Swissmedic?**

- Zulassung von Arzneimitteln
- Betriebsbewilligungen für Herstellung und Grosshandel
- Marktüberwachung von Arzneimitteln und Medizinprodukten
- Klinische Studien
- Laboranalytische Prüfung der Qualität
- ...

4

Was schätzen Sie ...?

... wieviel % der Schweizer Bevölkerung leiden an einer seltenen Krankheit?

➡ ca. 7% (590'000 Personen), Daten beruhen auf Schätzung

... wie viele seltene Krankheiten sind bis jetzt erkannt?

➡ 6'000 bis 8'000

... für wie viele seltene Krankheiten besteht ein Orphan Drug Status in der Schweiz?

➡ 259

Quellen: <https://www.bag.admin.ch/bag/de/home/themen/mensch.gesundheit/seltene.krankheiten/nationales.konzept.seltene.krankheiten.html>; <https://www.swissmedic.ch/arnzmittel/00156/00221/00222/00223/00224/00227/00228/index.html?lang=de>

5

Definition eines Orphan Drug

Arzneimittel zur Erkennung, Verhütung oder Behandlung einer lebensbedrohenden oder chronisch invalidisierenden **Erkrankung**, von der weniger als 5 von 10'000 Personen in der Schweiz betroffen sind

(VAZV*, Art. 4, Abs. 1, Bst. a)

*VAZV: Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstitutes über die vereinfachte Zulassung von Arzneimitteln und die Zulassung von Arzneimitteln im Meldeverfahren

6

Orphan Drug Status

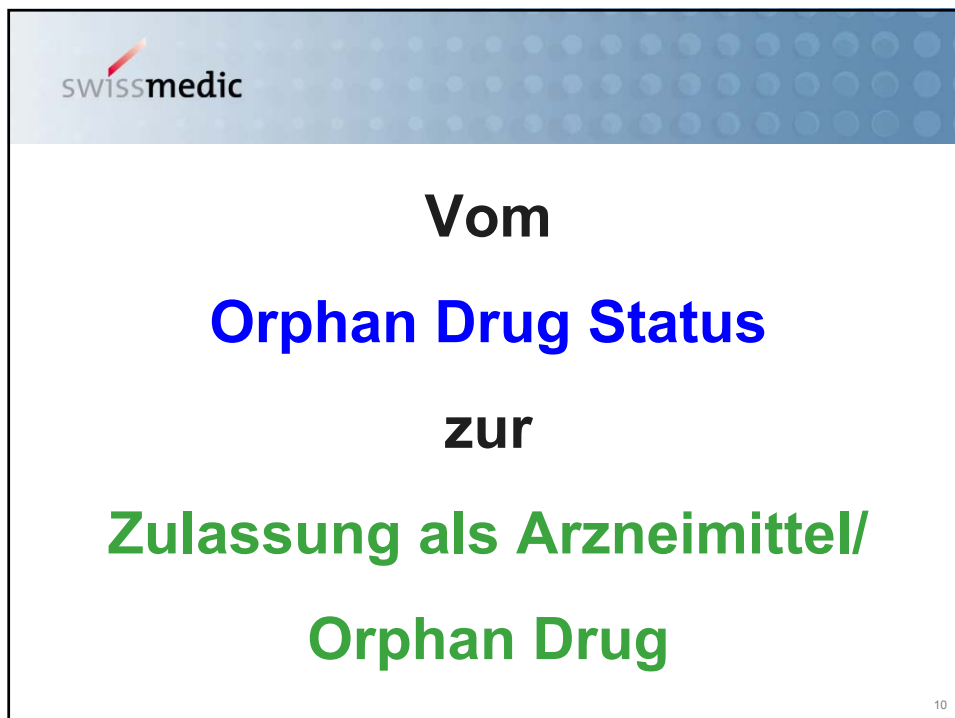
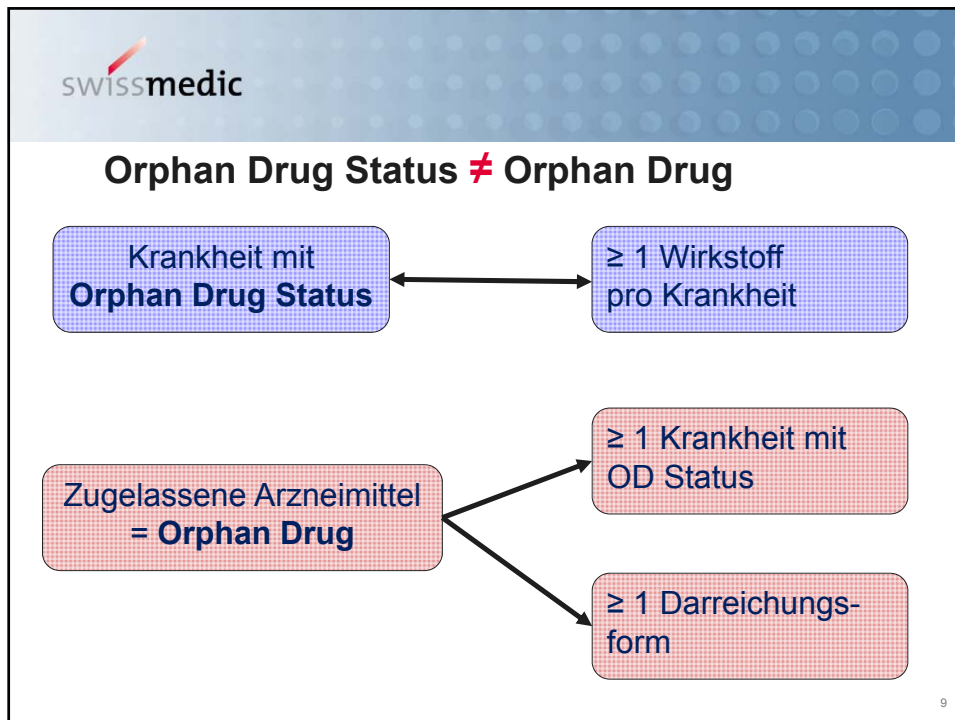
- OD Status bezieht sich auf die Krankheit, welche mit dem Wirkstoff bzw. Arzneimittel behandelt werden soll
- Anerkennung als OD muss mit entsprechendem Gesuch bei Swissmedic beantragt werden
- Kann vorgängig oder gleichzeitig mit dem Zulassungsgesuch eingereicht werden (kostenpflichtig)
- OD Status wird verliehen aufgrund:
 - Einreichung eigener Daten zum Nachweis der Häufigkeit der Erkrankung (Prävalenz: höchstens 5 von 10'000 Personen in der Schweiz)
 - Orphan Drug Status in einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle im Sinne von Art. 13 HMG

7

Vorteile des Orphan Drug Status

Gebührenbefreiung für:


- Wissenschaftliche Beratung (Scientific Advice)
- Erstzulassung
- Alle nach der Zulassung erforderlichen Änderungen (Qualität, Arzneimittelinformation etc)




SWISSmedic

Was versteht man unter „Zulassung“ eines Arzneimittels?

- Berechtigung ein Arzneimittel in der Schweiz auf den Markt zu bringen
- Erteilung der Zulassung erfolgt, wenn der Nutzen eines Arzneimittels die Risiken, die mit dessen Anwendung verbunden sind, überwiegt

 **Positives Nutzen / Risiko-Verhältnis**



- Hierfür beurteilt Swissmedic die Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels anhand der eingereichten Unterlagen

11

SWISSmedic

Was braucht es für die Zulassung? Wissenschaftliche Dokumentation

- In Abhängigkeit des Arzneimitteltyps und in Abhängigkeit des Risikos unterschiedlich umfangreich
- Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen erfordern mehr wissenschaftliche Daten / Studienresultate als solche mit bekannten Wirkstoffen

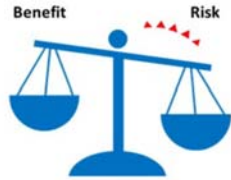
	Neuer Wirkstoff	Bekannter Wirkstoff
Qualität	Vollständige Prozess- und Produktbeschreibung	<ul style="list-style-type: none"> • Vollständige Prozess- und Produktbeschreibung • Vergleich mit Referenzpräparat
Prälinik	Vollständiges präklinisches Prüfprogramm	-
Klinik	Phase I	Bioequivalenz; weiteres falls notwendig bei Innovationen
	Phase II	Falls neue Indikationen / Dosierungen etc. beansprucht werden
	Phase III in allen beanspruchten Indikationen und Altersgruppen	
	Risk Management Plan und PV	

12

SWISSmedic **Wann kann zugelassen werden?**

Positive Nutzen-Risiko-Bilanz und hochstehende Qualität

- **Nutzen**
> belegt durch klinische Studienresultate am Menschen
- **Risiko**
> belegt durch präklinische Studienresultate am Tier und Nebenwirkungsmeldungen bei den (humanen) klinischen Studien
- **Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit** sind belegt
- Das neu zuzulassende Arzneimittel muss mindestens so gut sein, wie die bereits zugelassene Standardtherapie



13

SWISSmedic


Nutzen / Risiko Beurteilung

Risiken:

- Treten Nebenwirkungen auf? Wie schwer sind diese? Bleibende Folgen?
- Gibt es Wechselwirkungen bei der Einnahme mit anderen Arzneimitteln oder mit der Nahrung? Wie schwer sind diese?
- Umgang mit Risiken
- ...

Nutzen:

- Wirkt das Arzneimittel?
- Wie stark/hoch ist der Effekt/die Wirkung?
- Wie lange hält die Wirkung an?
- Klinische Notwendigkeit (patient need)



14

Was bedeutet die Zulassung?


- Arzneimittel ist qualitativ hochstehend, sicher und wirksam
- Arzneimittel entspricht allen Anforderungen gemäss aktuellem Stand von Wissenschaft und Technik
- Zulassung für klar definierte Indikation(en), Dosierungsempfehlungen, Applikationswege und definierte Patientengruppen (z.B. Kinder, Jugendliche, Erwachsene)
 - > gemäss den vorgelegten Daten aus klinischen Studien
- Genehmigte und publizierte Fach- und Patienteninformation (www.swissmedicinfo.ch)
- festgelegte Abgabekategorie (A – E)

15

Orphan Drug **Zulassung**

- Grundsätzlich gleiches Verfahren für die Zulassung eines Orphan Drug und Arzneimitteln ohne OD Status
- Begutachtung der Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit
- Bewertung Nutzen/Risiko-Verhältnis
- Abweichungen/Besonderheiten bei Orphan Drugs:
 - ➡ Begutachtung der präklinischen und klinischen Daten berücksichtigt die Seltenheit der Erkrankung
 - ✓ Limitierte Probandenzahl
 - ✓ Erschwerte Studiendurchführung
 - ➡ ABER: wissenschaftlich ausreichende Dokumentation!

16

 SWISSmedic


Zulassungsverfahren Orphan Drugs

**Eine Zulassung
Mehrere mögliche Wege dorthin**

<p>„Ordentlich“</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ 330 KT 	<p>„Artikel 13 HMG“</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ 210 - 330 KT 	<p>Beschleunigt</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ 140 KT ▪ Art. 5 VAM ▪ Kriterien (kumulativ): erfolgsversprechende Therapie bei lebensbedrohlicher Krankheit + keine bestehende oder unbefriedigende Behandlungsmöglichkeit + hoher therapeutischer Nutzen erwartet
---	---	---


KT: Kalendertage;
Swissmedic Zeit

17

 SWISSmedic

Wo finde ich Informationen und welche?

Swissmedic Homepage > Arzneimittel > Orphan Drugs/MUMS
<https://www.swissmedic.ch/Arzneimittel/00156/00221/00222/00223/00224/00227/00228/index.html?lang=de>

 [Humanarzneimittel](#)
Orphan Drug
(30.04.2017, 285 KB, XLSX)

Angaben zu

- Krankheiten und Wirkstoffen, für welche der Orphan Drug Status (ODS) verliehen wurde und Zeitpunkt der Verleihung des ODS
- Zugelassene Arzneimittel/ Orphan Drugs:
Datum der Erstzulassung, Zulassungsnummer, Zulassungsinhaber (Firma) und Handelsname
Fach- und Patienteninformation: www.swissmedicinfo.ch


18

SWISSmedic

Aktuelle Situation: Stand 30.04.2017

- 259 Krankheiten mit Orphan Drug Status (ODS)
- 194 Wirkstoffe zu Krankheiten mit ODS
- 121 zugelassene Arzneimittel für 140 Krankheiten mit ODS
- 119 Krankheiten mit ODS/ Wirkstoffe noch ohne zugelassenes Arzneimittel

Verteilung von Krankheiten mit ODS in Indikationsgebieten



- Onkologie
- Hämatologie/Gerinnung/Blutung
- Stoffwechsel/Speichererkrankungen
- Lungenerkrankungen
- Neurologie
- Verschiedene (z.B. Antiinfektiva, Transplantation)

19

SWISSmedic

Verantwortlichkeiten

<p>Swissmedic</p> <p>Zulassung, u.a.</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ Bescheid Erstzulassung <i>Qualität – Sicherheit - Wirksamkeit</i> ▪ Änderungen Zulassung ▪ Erneuerung Zulassung ▪ Transfer Zulassung <p>Marktüberwachung, u.a.</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ Auswertung von Nebenwirkungsmeldungen ▪ Kontrolle der Werbung 	<p>BAG</p> <p>Erstattung durch die Krankenkassen</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ Prüfung der Aufnahme auf die sog. Spezialitätenliste (SL) <i>Wirksamkeit - Zweckmässigkeit - Wirtschaftlichkeit</i> ▪ In Zusammenarbeit mit Eidgenössischer Arzneimittelkommission (EAK) <p>http://www.bag.admin.ch/themen/krankenversicherung/00263/00264/00265/index.html?lang=de</p>
--	---

20

Ausblick: Ordentliche Revision des Heilmittelgesetzes (2. Etappe)

Zusätzlicher Anreiz für Orphan Drugs

Art. 11b Unterlagenschutz in Spezialfällen

- Unterlagen betreffend pharmakologische, toxikologische und klinische Daten sind nicht 10, sondern **15 Jahre** geschützt

21

Zusammenfassung

- Orphan Drug Status \neq Orphan Drug Zulassung
- Erst mit der Zulassung durch Swissmedic kann das Arzneimittel für eine seltene Krankheit auf den Markt gebracht werden
- Preisfestsetzung und Rückvergütung durch Krankenkasse fallen in das Mandat vom BAG
- Anreize sollen auch künftig dafür sorgen, dass Orphan Drugs in der Schweiz zur Zulassung angemeldet werden

22