

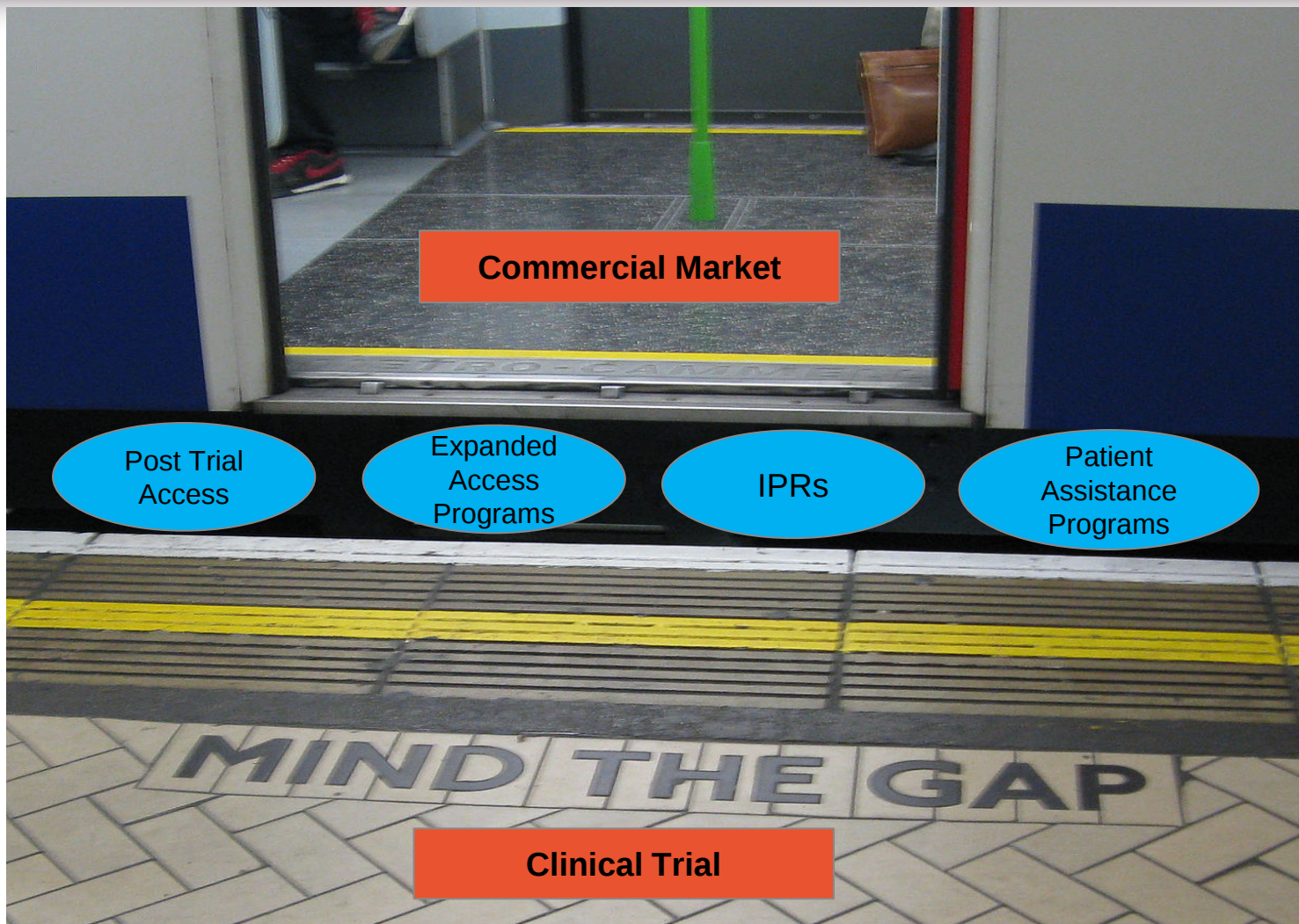
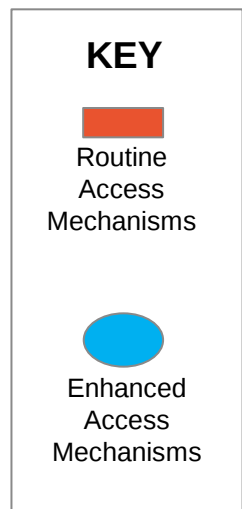


Заполняя пробел между клинической разработкой препарата и его появлением на рынке

Марина Дебрянская, к.м.н., Руководитель по клиническим исследованиям, Такеда Россия

Anthony Edmonds, Sr. Director, Enhanced Patient Access, Global Patient and Scientific Affairs

Расширение доступа к препарату заполняет пробелы, имеющиеся в общепринятой практике вывода препарата на рынок



Стратегическое направление развития компании

Такеда: пациент в центре





Понимание нужд и проблем пациентов



Пациенты и их семьи сталкиваются с различными проблемами при получении доступа к препаратам, в которых они нуждаются, например:

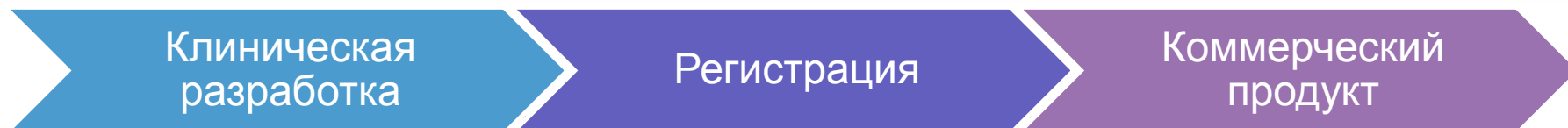
- Страдают жизнеугрожающими и изнуряющими заболеваниями
- Исчерпали все возможные опции лечения
- Слишком больны для участия в клиническом исследовании
- Срочно нуждаются в новом или экспериментальном препарате для лечения их заболеваний
- Ограничены в финансовых возможностях приобретения препарата
- Живут в местах, где доступно только базовое лечение - наиболее подходящая исследуемая терапия может быть в других частях света
- Иногда испытывают сложности в получении нужной информации от производителей – нет контактной информации, или нет понятных инструкций
- Не могут разобраться с процессами запроса на доступ к препарату, отличающимися в разных странах и компаниях.



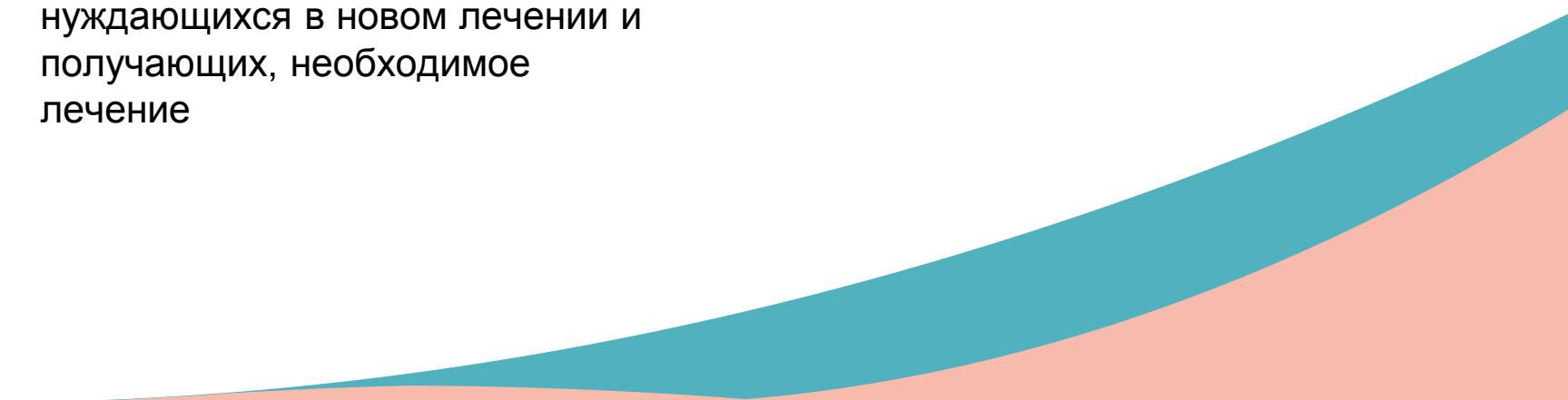
Запросы пациентов о доступе к препаратам становятся более частыми



Возможные пути доступа к препаратам



Количество пациентов,
нуждающихся в новом лечении и
получающих, необходимое
лечение



Снабжение в рамках КИ

???

Рыночное снабжение

Стандартные пути обеспечения препаратами

Пути предоставления дополнительного доступа пациентов к лечению



Клиническая
разработка

Регистрация

Коммерческий
продукт

Доступ после исследования

Продолжающийся доступ к исследуемому препарату для пациентов с серьезными, жизнеугрожающими заболеваниями, **которые участвовали в клиническом исследовании**, и получили клинически важный и объективный эффект, а также у которых нет доступного альтернативного лечения, и которым прекращение исследуемого лечения может нанести вред.

Программы расширенного доступа

Заблаговременно спланированные и оформленные программы, которые позволяют подходящим пациентам получать исследуемый препарат до регуляторного одобрения или поступления препарата в обращение.

Индивидуальные запросы пациентов

Индивидуальные запросы пациентов также называют «compassionate use» - «благотворительное использование»

Программы помощи пациентам

Запросы пациентов на получение доступа к препаратам, которые доступны на рынке, но пациент не может себе их позволить.

Доступ после исследования

Почему необходим доступ после к препарату исследования?



- **Хельсинская декларация, Параграф 34 (Редакция 2013 г.)**

«До начала исследования спонсоры, исследователи и государственные органы стран, в которых планируется исследование, должны предусмотреть возможность доступа участников исследования к требующейся им терапии, если в процессе исследования выяснилось, что она приносит им пользу. Эта информация должна быть доведена до сведения участников исследования в процессе получения информированного согласия.»

- **Межрегиональный центр ЛИ Гарварда** разработал руководство, которое поддерживает данный принцип и содержит более детальные инструкции

Доступ после исследования позволяет подходящим участникам спонсируемого исследования продолжать бесплатно получать исследуемый препарат после окончания участия в исследовании.

Доступ после исследования – Общие критерии включения



Критерии включения

Доступ после исследования должен быть предоставлен всем пациентам, которые подходят по всем следующим критериям.



Расширенные программы доступа

**Compassionate Use
Program (CUP)**

Early Access Program (EAP)

Medical Needs
Program (MNP)

Special Treatment Protocol (STP)

Temporary Authorization of Use (ATU)

EXPANDED ACCESS PROGRAM (EAP)

Special Access Scheme (SAS)

Expanded Access (Compassionate Use)

[Expanded Access: Information for Patients](#)

[Expanded Access: Information for Physicians](#)

[Expanded Access: Information for Industry](#)

[FDA's Expanded Access Contact Information](#)

Resources for You

- [Expanded Access Navigator](#)
- [FDA Form 3926 Individual Patient Expanded Access Investigational New Drug Application\(PDF\)](#), Note: For best form functionality, Right-click 3926 link and click Save Link As... to save to your desktop and then open the file. (PDF - 2.1MB)

Expanded Access (sometimes called "Compassionate Use")

[f](#) SHARE

[t](#) TWEET

[in](#) LINKEDIN

[p](#) PIN IT

[e](#) EMAIL

[p](#) PRINT

Expanded access (sometimes called "compassionate use") is the use of investigational drugs, biologics or medical devices outside the clinical trial setting for treatment purposes. Expanded access may be appropriate when all the following apply:

- Patient has a serious disease or condition, or whose life is immediately threatened by their disease or condition.
- There is no comparable or satisfactory alternative therapy to diagnose, monitor, or treat the disease or condition.
- Patient enrollment in a clinical trial is not possible.
- Potential patient benefit justifies the potential risks of treatment.
- Providing the investigational medical product will not interfere with investigational trials that could support a medical product's development or marketing approval for the treatment indication



**Information for Patients, Physicians
and Industry**

Compassionate use

Compassionate use is a treatment option that allows the use of an unauthorised medicine. Under strict conditions, products in development can be made available to groups of patients who have a disease with no satisfactory authorised treatments.

Agency Role

The European Medicines Agency (EMA) provides Medicinal Products for Human Use (CHMP), but the use programmes are coordinated and implemented by procedures.

These programmes are only put in place if the medicine is **threatening, long-lasting or seriously debilitating** with any currently authorised medicine.

The medicine must be undergoing clinical trials or a process and while early studies will generally have guidelines may not be fully established.

How to request an opinion

National competent authorities can ask EMA for an opinion on certain medicines for compassionate use. The CHMP Member States should take note of these recommendations.

Support for early access

The European Medicines Agency (EMA) is committed to enabling early patient access to new medicines, particularly those that target an unmet medical need or are of major public health interest. The Agency seeks to support the medicine development process from an early stage and to offer regulatory mechanisms to help promising new medicines reach patients as early as possible. Companies developing such medicines can apply to EMA for their products to make full use of these regulatory opportunities.

The European Union (EU) pharmaceutical legislation includes several provisions to foster patients' early access to new medicines that address public health needs and are eligible for the centralised procedure such as:

- accelerated assessment: reduces the timeframe for review of an application for marketing authorisation for medicines of major public health interest and in particular from the viewpoint of therapeutic innovation;
- conditional marketing authorisation: grants marketing authorisation before complete data are available;
- compassionate use: allows the use of an unauthorised medicine for patients with an unmet medical need. The Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) issues an opinion on criteria and conditions, which national patient access programmes can consider when making such medicines available.

Индивидуальные запросы пациентов

Индивидуальные запросы пациентов – Критерии включения



Критерии включения



- **Статья 47** Федерального закона №61. Порядок ввоза лекарственных средств в Российскую Федерацию и вывоза лекарственных средств из Российской Федерации.
- Пункт 3.

Допускается ввоз в Российскую Федерацию конкретной партии зарегистрированных и (или) незарегистрированных лекарственных средств, предназначенных <...> для оказания медицинской помощи по жизненным показаниям конкретного пациента на основании разрешения, выданного уполномоченным федеральным органом исполнительной власти по заявлениям лиц, указанных в статье 48 настоящего Федерального закона. Рассмотрение такого заявления и принятие решения о выдаче разрешения <...> производятся в срок, не превышающий пяти рабочих дней. Плата за выдачу указанного разрешения не взимается.

Законодательство РФ: Кто может быть заявителем?



Статья 48 Федерального закона №61:

1. *производители лекарственных средств для целей собственного производства лекарственных средств;*
2. *иностранные разработчики лекарственных средств и иностранные производители лекарственных средств или другие юридические лица по поручению разработчика лекарственного средства для проведения клинических исследований лекарственного препарата, осуществления государственной регистрации лекарственного препарата, включения фармацевтической субстанции в государственный реестр лекарственных средств, контроля качества лекарственных средств при наличии разрешения уполномоченного федерального органа исполнительной власти на ввоз конкретной партии лекарственных средств;*
3. *организации оптовой торговли лекарственными средствами;*
4. *научно-исследовательские организации, образовательные организации высшего образования, производители лекарственных средств для разработки, исследований, контроля безопасности, качества, эффективности лекарственных средств при наличии разрешения уполномоченного федерального органа исполнительной власти;*
5. *медицинские организации, иные указанные в пунктах 1 - 4 настоящей статьи организации для оказания медицинской помощи по жизненным показаниям конкретного пациента при наличии разрешения уполномоченного федерального органа*

Законодательство РФ: заявление на ввоз препарата



Правила ввоза лекарственных средств для медицинского применения на территорию Российской Федерации (одобрено Постановлением Правительства РФ от 29 сентября 2010 г. № 771 “):

- 1. Заявление с указанием: описание препарата (наименование лекарственного препарата, дозы, концентрации, фасовка), наименования организации - производителя лекарственного препарата, страны производства лекарственного препарата (переформулировано)*
- 2. Обоснование количества ввозимых лекарственных препаратов <...>*
- 3. Заключение консилиума врачей федерального учреждения или учреждения Российской академии медицинских наук, <...> подписанное главным врачом (директором) <...> о назначении пациенту незарегистрированного лекарственного препарата для оказания ему медицинской помощи по жизненным показаниям <...>*
- 4. обращение уполномоченного органа исполнительной власти субъекта Российской Федерации <...> с приложением копии заключения консилиума врачей учреждения субъекта Российской Федерации*
- 5. Копия паспорта или свидетельства о рождении пациента <...>*

- Приложение N 21 к Решению Коллегии Евразийской экономической комиссии от 21 апреля 2015 г. N 30

11. Заключение (разрешительный документ) выдается юридическим лицам, физическим лицам, зарегистрированным в качестве индивидуальных предпринимателей, а также в случаях, предусмотренных законодательством государства-члена, иностранным организациям – производителям лекарственных средств в лице уполномоченных представительств (филиалов) или их доверенных лиц (далее – заявители) в следующих случаях:

<...>

в) ввоз незарегистрированных лекарственных средств, предназначенных для оказания медицинской помощи по жизненным показаниям конкретного пациента либо оказания медицинской помощи ограниченному контингенту пациентов с редкой и (или) особо тяжелой патологией;

Программы Индивидуальных запросов пациентов в России



➤ **Онкология**

- Adcetris (брентуксимаб ведотин), Hodgkin's lymphoma (2012-2014)
- Ninlaro (Ixazomib), Multiple myeloma – early access program (2016-2019)
- Alunbrig (Brigatinib), NSCLC – early access program (2018-ongoing)

➤ **Гастроэнтерология**

- Teduglutide (Short bowel syndrome) – early access program (ongoing)

➤ **Редкие заболевания**

- Elaprase (Idursulfase), Hunter syndrome
- Replagal (Agalsidase alfa) Fabry disease
- VPRIV (Velaglucerase alfa) Gaucher disease

Программы помощи пациентам

Affordability-Based
Patient Assistance
Programs (PAPs)

Addressing Barriers
to Access by Going
Beyond Medicines

A Sustainable,
Not-for-Profit
Approach in
Sub-Saharan Africa

Improving access to innovative medicines and quality healthcare

Innovative
New R&D Programs

Expanding
Our CSR Outreach

Expediting
Access to Vaccines

Evolving
Our Intellectual
Property (IP) Policy

Благодарю за
внимание!



Takeda Pharmaceuticals International