

# Legemiddelgodkjenning – Quo Vadis?

**Regulatorisk høstmøte 19. oktober 2022**

Marit Hystad, PhD  
Fungerende områdedirektør  
Legemiddeltilgang

# Agenda

1. Innledning
2. Dagens utfordringer
3. Godkjenning av legemidler framover
4. Oppsummering



# INNLEDNING

# Endringer i Europa - strategier 2020-2025

- EU Kommisjonens Pharma strategy
- HMA/EMA strategi (EMRN strategy = European Medicines Agencies Network strategy)



The strategy covers the full lifecycle of a medicine



# En sterkere Europeisk Helse Union



1. HERA -«Health Emergency preparedness and Response Authority»
2. Forordning (EU) 2022/123 - utvider EMAs mandat
3. Utvidet mandat for EHDC - «European Health Data Space»  
Benytte potensialet av helsedata i EU, felles regler og standarder
4. EU4Health - EC prosjekt for å styrke helsesituasjonen i EU
5. ICMRA – «International Coalition of Medicines Regulatory Authorities»

# Endringer framover

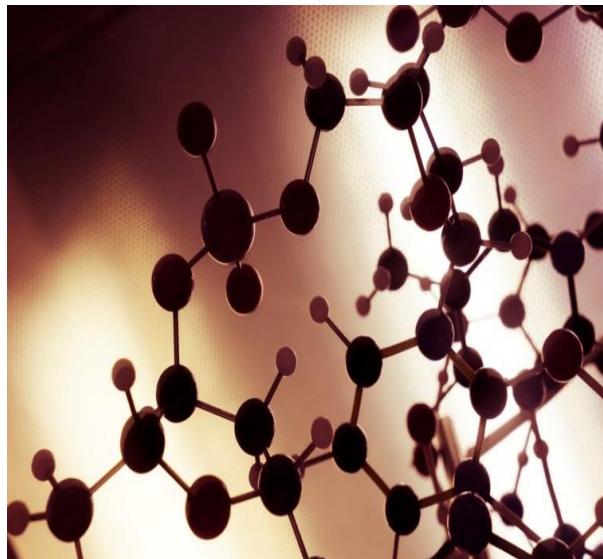


1. Rask og koordinert respons ved helsekriser
2. Samarbeid og kommunikasjon globalt
3. Åpenhet og transparens
4. Infrastruktur og digitalisering
5. Helseregistre og helsedata i EU-nettverket

# DAGENS UTFORDRINGER

# Ny teknologi utfordrer dagens regulatoriske rammeverk

- Målrettet behandling/presisjonsmedisin
  - Genotype, CYP-analyse, Svulst-genotype
  - Bakteriegenetikk og bakteriofager
  - Genredigering og genterapi
  - Agnostiske indikasjoner innen onkologi
- Legemidler i kombinasjon med medisinsk utstyr
  - Companion diagnostic
- Helseregistre og RWD
- Kunstig intelligens (AI)
- 3D printing
- Digitalisering av produksjons- og distribusjonslinjer, kontinuerlig produksjon
- Digital hjemmeoppfølging og digitale distribusjonskjeder som nettapotek.





# Våre utfordringer



## 1. Nye patenterte legemidler utvikles for små pasientpopulasjoner

- Få pasienter i kliniske studier
- Større usikkerhet i data

## 2. Eldre legemidler/generika - har dårligere inntjeningsmarginer og er mest utsatt for mangel

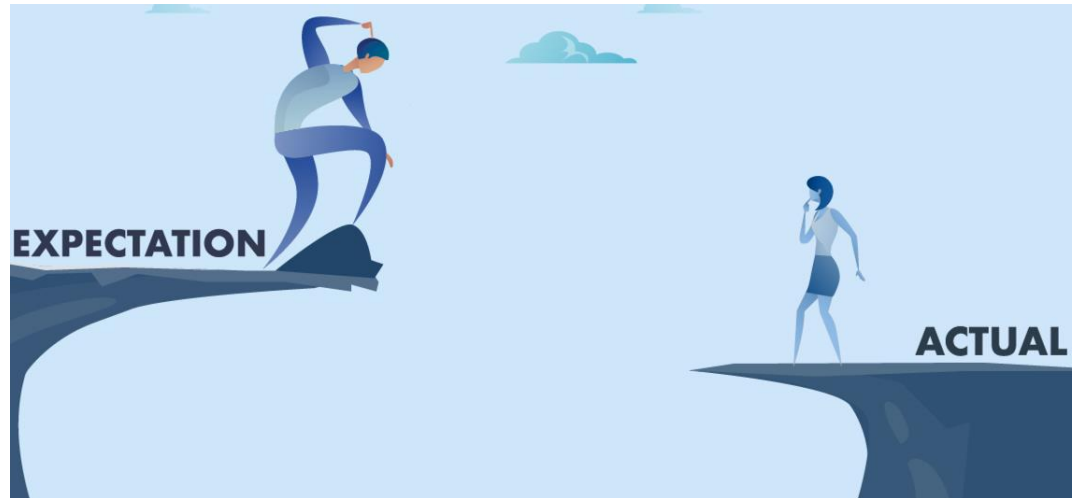
- Dokumentasjon selges fra firma til firma
- Produksjonskjeden fragmenteres, settes til billigste produsent: fører til dårlig kontroll over kvaliteten

## 3. Kapasitetsutfordringer i det europeisk nettverk

- BREXIT, Covid19
- Usikre data og økt oppfølgingsarbeid etter MT

# Legemidler til små pasientgrupper

- Betinget godkjenning/markedsføringstillatelse (MT)
  - Usikker dokumentasjon på at behandlingen virker
  - Krav til nye data etter MT for å bekrefte nytte/risiko
  - Oppfølgende kliniske studier
- Dokumentasjons-gapet



# Betinget MT siste seks år

	2016	2017	2018	2019	2020	2021
Positive anbefalinger	81	92	84	66	97	92
Nytt virkestoff	27	35	42	30	39	53
Biosimilar	7	14	9	5	12	7
Kjent virkestoff**	47	43	36	31	46	32
Orphan*	16	19	21	7	22	19
Betinget MT	8	5	4	9	18	17

Kilde: EMAs Highlights of medicinal products 2016-2021

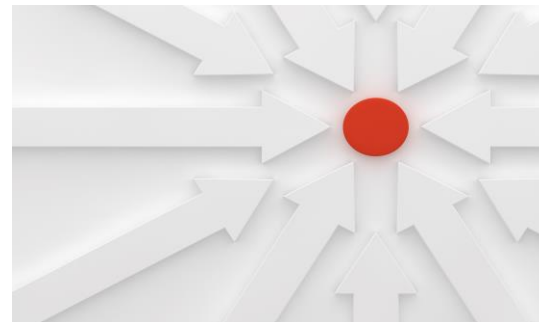
# Betinget MT - utfordringer

- Usikker effektdokumentasjon
- Usikker relativ effekt
  - Trenger mer data for å vurdere Relativ Effekt (RE)
- Forsinker i beslutning om pris og refusjon



# **GODKJENNING AV LEGEMIDLER FRAMOVER**

# EU kommisjonens overordnede mål



## Pharmaceutical strategy 2020-2025:

1. Bedre tilgang, tilgjengelighet og prissetting i hele EU
2. Regelverket må dekke vitenskapelig og teknologisk utvikling
3. Styrke og legge til rette for innovasjon og kliniske studier
4. Effektiv håndtering av søknader, særlig ved udekket behov
5. Høy kompetanse hos Europas regulatoriske myndigheter

# Nytt regelverk for kliniske studier

Forordning (EU) 536/2014

## Overordnede mål:

1. Gjøre EU attraktivt for kliniske studier
2. Tilrettelegge for rask og samordnet godkjenningsprosess
3. Ett regelverk og koordinert vurdering og felles beslutning i alle land
4. Digitalisering gjennom EU-portalen: CTIS
5. Samarbeid om sikkerhetsvurderinger og bivirkningsarbeid
6. Full åpenhet om alle data (unntatt kvalitetsdokumentasjon)



<https://legemiddelverket.no/godkjenning/klinisk-utproving/ny-forordning-for-kliniske-studier>

# Nytt regelverk for legemidler til dyr

Forordning (EU) 2019/6

## Overordnede mål:

1. Bedre tilgjengeligheten av legemidler til dyr
2. Incentiver for å stimulere konkurranse og innovasjon
3. Effektivisere godkjenning og overvåkning
4. Digitalisering gjennom felles EU(EØS)-databaser: UPD
5. Styrkede virkemidler for å bekjempe antimikrobiell resistens



<https://legemiddelverket.no/veterinermedisin/nytt-regelverk-for-legemidler-til-dyr>



# Dokumentasjon og kunnskap

- fortsatt bærebjelken

## Regulatoriske myndigheters rolle:

- Sikre legemidler av god kvalitet, trygge og effektive

## Kliniske studier = hovedkilden

- Studier med bedre og mer «effektiv» design
- Styrke og tilrettelegge for kliniske studier i Europa
- Ny forordning, ACT-EU og Innovativ Health Initiativ (IHI)

## Tidlig og god dialog mellom utvikler og myndighet

- Nøkkelen til rask tilgang
- Planlegge innovasjon og utvikling – forstå de regulatoriske kravene
- Vitenskapelig og regulatorisk veiledning for MT og HTA – økt betydning
- Tilbud nasjonalt og internasjonalt (EMA)



# Real World Data (RWD)

- Optimal design av kliniske studier
  - Eks. kontrollgruppe
- Lite RWD for et legemiddel før det har fått MT
  - Tilleggs- og støttedata til kliniske studier
- DARWIN-EU
  - Data Analysis and Real World Integration Network
  - Koordineringscenter
  - EMA og regulatoriske myndigheter vil benytte dette ved behov for støtte



# Rask saksbehandling og reell tilgang i hele EU

## For legemidler med stort potensial og ved udekket behov

1. PRiME (Priority Medicine)
2. Prioritert Scientific advice (SA) og akselerert prosedyre
3. Effektive regulatoriske prosesser
4. Rullerende gjennomgang (RR)?
5. Økte krav – «lesson learned»



# Rask saksbehandling og reel tilgang

-i hele godkjenningsløpet fram til pasient

**Prising av legemidler er et nasjonalt anliggende!**

**Tilrettelegge sentralt i EU:**

1. Ny lovgivning for HTA (direktiv 2011/24/EU)- implementert 2021
  - Relativ Effekt (RE) for legemidler – oppstart 2025
2. Dialog og samarbeid mellom MT og HTA myndigheter
  - EMA og EUnetHTA21 – Joint work plan (2021-2023)
3. Regulatorisk og vitenskapelig veiledning for både MT og HTA
  - Parallell Scientific Advice = Joint Scientific Consultation



**Muliggjør raskere beslutninger og reel tilgang av legemidler til pasienter!**

# OPPSUMMERING

# Oppsummering

- Sterkere europeisk helseunion
- Dagens utfordringer:
  - Ny teknologi
  - Usikre data ved MT
- Framtidens godkjenning av nye legemidler:
  - Bedre og reel tilgang til pasienter i hele EU/EØS
  - Kliniske studier fortsatt bærebjelken
  - Tilrettelegge og styrke for innovasjon i EU/EØS
  - Effektiv håndtering av søknader
  - Økt sentralisering og samarbeid mellom myndigheter



[legemiddelverket.no](https://legemiddelverket.no)



legemiddelverket

[helsenorge.no](https://helsenorge.no)