

Offenlegung potentieller Interessenkonflikte

1. Anstellungsverhältnis oder Führungsposition

Anstellung bei Novartis Pharma GmbH

2. Beratungstätigkeit

keine

3. Aktienbesitz

keiner

4. Honorare

keine

5. Finanzierung wissenschaftlicher Untersuchungen

keine

6. Gutachtertätigkeit

keine

7. Andere finanzielle Beziehungen

keine



15. AMG-Novelle: Compassionate Use – Wann sollte Studienware gestellt werden?

Dr. Oliver Leismann

Medical Advisor, Novartis Pharma GmbH, BU Oncology, Nürnberg

DÖSGHO Mannheim, 04. Oktober 2009



Compassionate Use (CU) - Definition

- „Anwendung aus Mitgefühl“
- „Freigabe aus Barmherzigkeit“
- Medizinrechtliche Definition:

Anwendung eines möglicherweise wirksamen, jedoch **noch nicht zugelassenen Arzneimittels** im **Einzelfall** bei Patienten in **lebensbedrohlichen Situationen** oder mit **schwer wiegenden nicht** oder nicht **mehr** anderweitig **therapierbaren Erkrankungen** im **Rahmen der ärztlichen Behandlungspflicht** und **Therapiefreiheit**

CU- Aktuelle rechtliche Situation in Deutschland

- Da bisher keine Rechtsverordnung nach §80 AMG vorliegt, **hat das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) keine Rechtsbefugnis über "Compassionate use"-Programme zu entscheiden.**

ABER

- Ein pharmazeutischer Unternehmer oder andere Personen oder Institutionen können sich bei der Durchführung eines "CU" **auf die Bestimmungen des §21 Abs. 2 Nr. 6 AMG beziehen.**

CU- §21 Abs. 2 Nr. 6 AMG nach 15.ter AMG-Novelle

- "(2) Einer **Zulassung** bedarf es **nicht** für Arzneimittel, die
[...]
6. unter den in **Artikel 83 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004** genannten **Voraussetzungen kostenlos*** für eine Anwendung bei Patienten zur Verfügung gestellt werden, die an einer zu einer schweren Behinderung führenden Erkrankung leiden oder **deren Krankheit lebensbedrohend ist**, und die mit einem zugelassenen **Arzneimittel nicht zufrieden stellend behandelt werden können; dies gilt auch für die nicht den Kategorien des Artikels 3 Absatz 1 oder 2 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 zugehörigen Arzneimitteln***

* Gesetz zur Änderung arzneimittelrechtlicher und anderer Vorschriften vom 17. Juli 2009; 15te AMG Novelle

Ergänzungen aus Artikel 83 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004

- (2) Das betreffende **Arzneimittel muss** entweder **Gegenstand eines Antrags auf Erteilung einer Genehmigung ...oder Gegenstand einer noch nicht abgeschlossenen klinischen Prüfung** sein.
- (8) Ist ein „compassionate-use“-Programm (CUP) aufgestellt worden, **so gewährleistet der Antragsteller, dass den beteiligten Patienten das neue Arzneimittel auch in der Zeit zwischen Genehmigung und Inverkehrbringen zur Verfügung gestellt wird.**

CU- Empfehlungen zur Durchführung

- Patient leidet an einer **lebensbedrohenden oder zu einer schweren Behinderung führenden Krankheit**
- **Mangel** an einer **zufrieden stellenden alternativen Therapiemöglichkeit** mit einem in der EU zugelassenen Arzneimittel
- Nachweis, dass das betreffende **Arzneimittel sich entweder im EMEA Zulassungsverfahren befindet oder klinisch geprüft** wird.
- **Berücksichtigung** der „**Guideline on Compassionate Use of Medicinal Products. Pursuant to Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004**“.
- **Vorhandensein** geeigneter Dokumente (z.B. aktuelle "Investigator's Brochure" (Prüferinformation)) zum **Nachweis einer Wirksamkeit in der vorgesehenen Indikation** und **Sicherheit der Behandlung**
- **Definition von Ein- und Ausschlusskriterien** sowie ggf. **Abbruchkriterien** für das "Compassionate Use"-Programm
- **Maßnahmen zur Pharmakovigilanz**

CU- Haftung

- Die Durchführung eines CU liegt in der Eigenverantwortung des behandelnden Arztes
- Das Pharmazeutische Unternehmen muß die korrekte Herstellung des Präparates gewährleisten