

Gesetzliche Grundlagen der Arzneimittelentwicklung national/ international



Dr. med. Dirk Mentzer

Referatsleiter Arzneimittelsicherheit

Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin

Paul-Ehrlich-Institut

Bundesinstitut für Impfstoffe und biomedizinische Arzneimittel

Langen (Hessen)

Inhalt

- System der Arzneimittel Zulassung in der EU und DE
- Arzneimitteltherapie – Untersuchung zum Nutzen
- Arzneimitteltherapie – Überwachung der Risiken
- Rolle der Kinderärzte



**Zu Risiken und Nebenwirkungen
lesen Sie die Packungsbeilage und fragen
Sie Ihren Arzt oder Apotheker.**

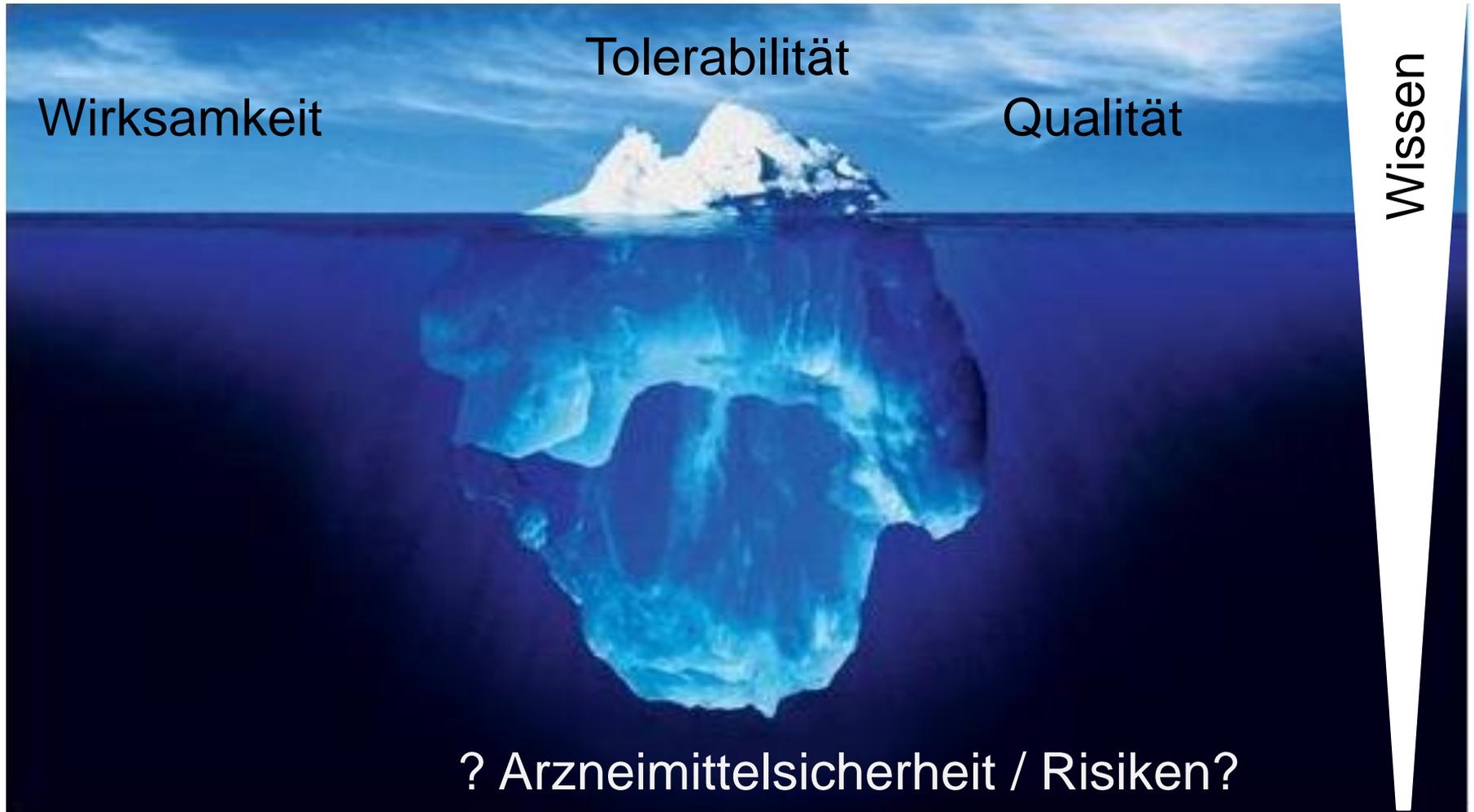


**Zu Risiken und Nebenwirkungen
lesen Sie die Packungsbeilage und fragen
Sie Ihren Arzt oder Apotheker.**

**... aber was genau kann bei der Behandlung von Kindern in diesem
Fall zum Zeitpunkt nach der Zulassung geantwortet werden?**



Wissen und Feststellung des Nutzen/ Risiko bei Zulassung



Gesetzliche Grundlagen der Arzneimittelentwicklung national/ international

Markt Gesetze

Kinderheilkunde

- Forschung
- Klinische Studien
- Zulassung
- Kostenerstattung

- Ethik
- Therapiebedarf
- Subpopulation
- Patient/ Eltern

„Forschung an Kinder ja bitte, aber nicht mit meinem Kind“



Gesetzliche Grundlagen der Arzneimittelentwicklung national/ international

Nur wenige Substanzen erreichen das Ziel (Paul, S.M., et al.: Nature Reviews Drug Discovery 9, 203–214 (2010))



- **Grundlagenforschung**
- **Wissenschaftliche Publikation**

EU Verordnung 1901/2006
Gesetzlicher Rahmen für die Entwicklung neuer Arzneimittel, die ebenfalls in der päd. Population angewendet werden können bzw. den Stand der wissenschaftlichen Kenntnis verbessern sollen.

Gesundheit der Kinder



Lösungen: Pädiatrische Komitee bei der EMA





Lösungen: Pädiatrischer Prüfplan

- Die Pädiatrische Arzneimittel Verordnungen (EU 1901/2006) gilt unmittelbar in der EU/EEA.
- Gilt für Kinder von 0 bis zum 18. Lebensjahr (ohne das 18.)
- Bei Antragung auf Zulassung oder bei Indikationserweiterung (Arzneimittel unter Patentschutz) muss ein genehmigtes pädiatrisches Prüfkonzept (PIP) vorliegen (Art.7 bzw. 8).

- **Freistellung (Waiver)**
- **Zurückstellung (Deferral)**
- **PUMA (Paediatric Use Marketing Authorisation)**
- **MICE (Medicine in Children)**

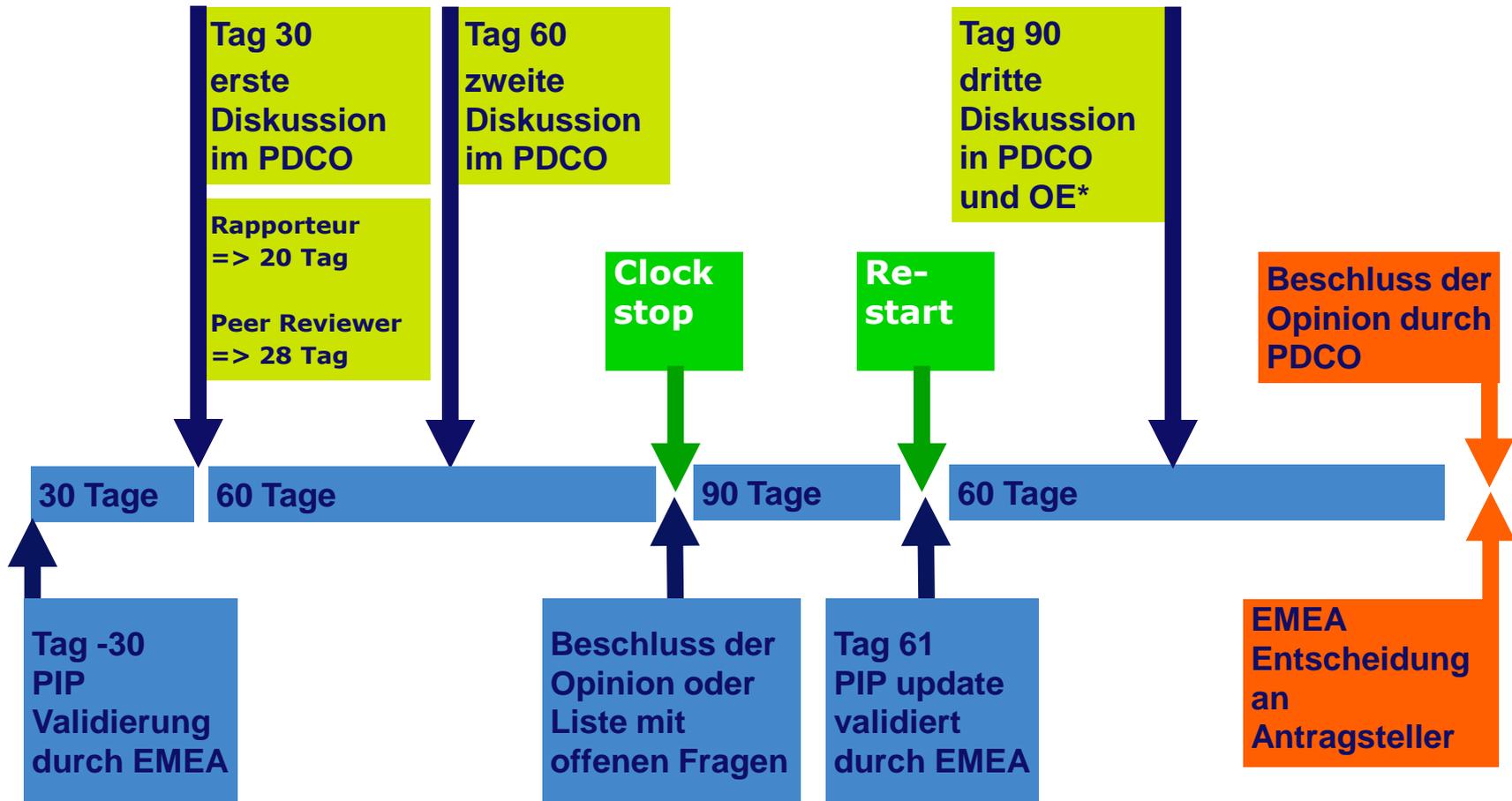


Lösungen: Pädiatrischer Prüfplan

- PIP ist bindend für Zulassungsinhaber und EMEA
- Die Entscheidung für eine Freistellung (Waiver) ist abhängig vom
 1. Arzneimittel
 2. der Erkrankung (Waiver versus PIP und Deferral)
 3. dem therapeutischen Effekt (Waiver)
 4. den pädiatrischen Therapiebedarf (Paediatric Needs)
- Ausgenommen von der PIP Pflicht sind
 1. Generika, Blutkomponenten
 2. „Herbals“
 3. „well-established-use medicinal products“



Bewertung eines Pädiatrischen Prüfplans



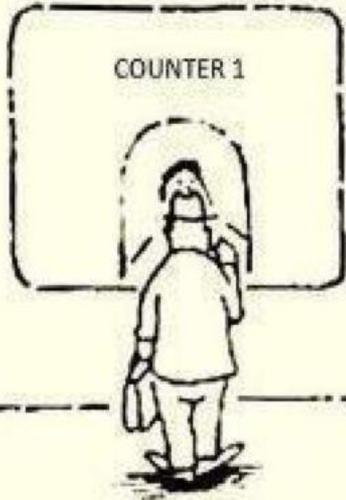


Bewertung eines Pädiatrischen Prüfplans

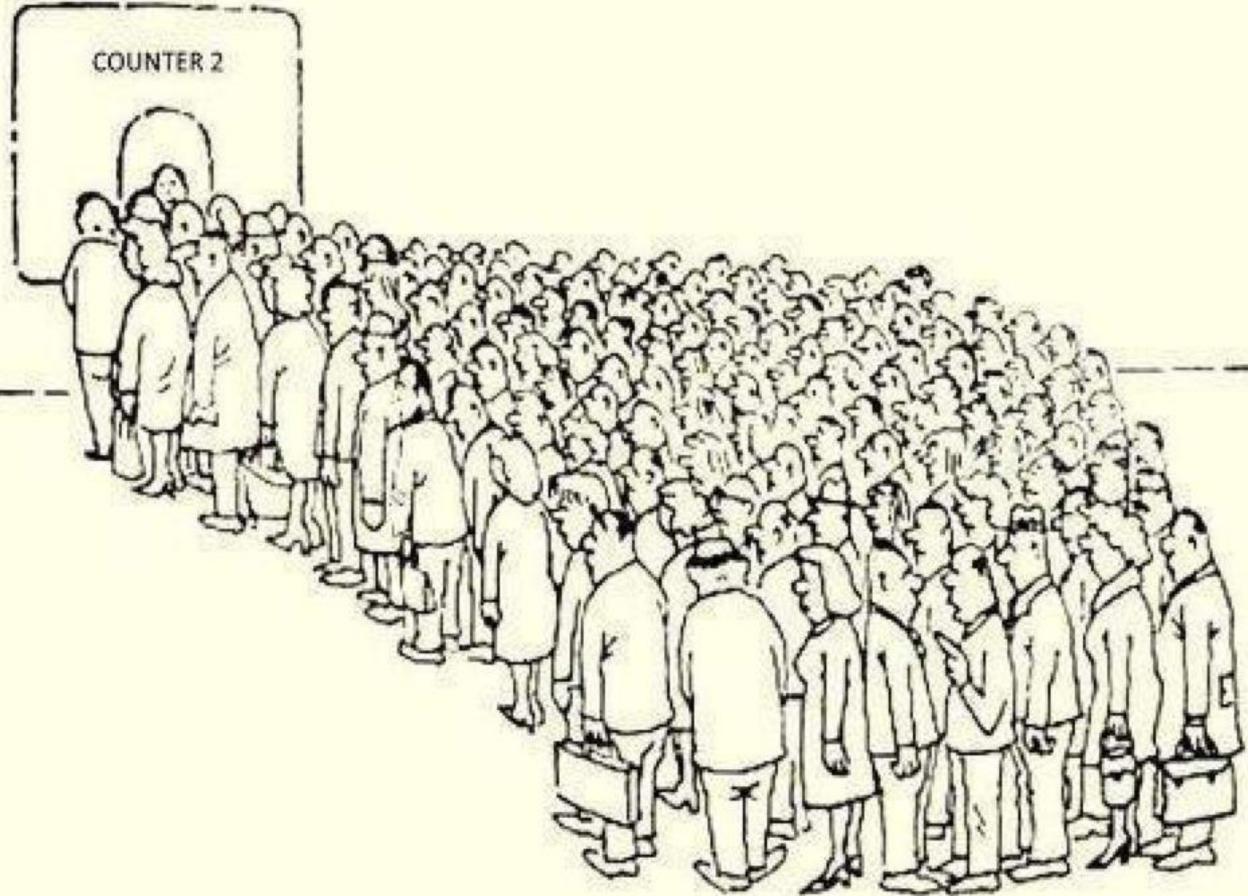
- PIP Konzeption schließt das gesamte Unternehmen ein
 - wann pädiatrische Studien erfolgen sollten
 - welche Sicherheitsaspekte berücksichtigt werden sollten
 - Berücksichtigung von ethischen Besonderheiten der Studien
- Änderung im PIP müssen vom PDCO akzeptiert sein
- Die Entscheidung über den PIP werden publiziert
- Class waiver Liste wird vom PDCO regelmäßig aktualisiert



THOSE WHO HAVE TIME:
STAND IN LINE HERE



THOSE WHO DON'T HAVE TIME:
STAND IN LINE HERE



Early dialoge project

Pilot to start in Q2 - 2015



Möglichkeiten für die Kinderärzte aktiv zu werden

Forschung:

- **Arzneimittel und klinische Forschung**
- **Klinische Studien in Netzwerken**
- **Post-Marketing Studien und Register**

Patientenversorgung:

- **Notwendigkeit der klinischen Studien**
- **speziell bei Arzneimittel ohne Patent**
- **Ausbildung Studium und Weiterbildung**
- **Beteiligung der Kinder/ Eltern**



Ziel einer gesetzlichen Regelung

- Arzneimitteln Entwicklung für Kinder mit gleichen qualitativen, wissenschaftlichen und ethischen Standards
- Zeitgleiche Arzneimittel Zulassung für Kinder und Erwachsene
- Unterstützung von klinischen Prüfungen zur Nutzenanalyse
- Beteiligung an post-marketing Überwachung
- Verwendung der altersentsprechenden Formulierung
- Aufklärung – Hinweise in der Fachinformation



Child health

**Research &
development**



Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit