

Επιτροπές του EMA: Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών (CAT)

Εισαγωγή

Η Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών (CAT) του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) αξιολογεί την ποιότητα, την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα των φαρμάκων προηγμένων θεραπειών (ATMP). Τα ATMP είναι φάρμακα για ανθρώπινη χρήση που παρασκευάζονται από γονίδια και κύτταρα ή ιστούς και περιλαμβάνουν γονιδιακές θεραπείες, φάρμακα σωματοκυτταρικής θεραπείας, φάρμακα παρασκευασμένα με μηχανική ιστών και συνδυασμένες θεραπείες. Το ακόλουθο άρθρο περιέχει περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τα ATMP και αναλύει τις ρυθμιστικές έννοιες και τη νομοθεσία που διέπουν τις δραστηριότητες της CAT.

Επιτροπή του EMA για προηγμένες Θεραπείες (CAT)

Τα ATMP μπορούν να προσφέρουν πιθανές νέες ευκαιρίες θεραπείας για πολλές ασθένειες, όπως η νόσος του Alzheimer, ο καρκίνος, γενετικές ασθένειες όπως η μυϊκή δυστροφία ή οι εγκαυματικές βλάβες του δέρματος.

Υπάρχουν τέσσερις κύριες ομάδες ATMP:

- **Φάρμακα γονιδιακής θεραπείας (GTMP)**

Τα GTMP περιέχουν γονίδια που οδηγούν σε θεραπευτικό αποτέλεσμα. Τα GTMP εισάγουν «ανασυνδυασμένα» γονίδια σε κύτταρα, χρησιμοποιώντας συχνά έναν ιό ως φορέα (όχημα που χρησιμοποιείται για τη μεταφορά γενετικού υλικού σε ένα κύτταρο-στόχο) για τη μεταφορά του γονιδίου. Ένα ανασυνδυασμένο γονίδιο είναι ένα τμήμα DNA που

δημιουργείται στο εργαστήριο, συνδυάζοντας DNA από διαφορετικές πηγές. Όταν το γονίδιο εισέρχεται στα κύτταρα του ασθενούς, τα κύτταρα παράγουν μια πρωτεΐνη που μπορεί να βοηθήσει στην επιβράδυνση ή τη θεραπεία μιας ποικιλίας ασθενειών, συμπεριλαμβανομένων των γενετικών διαταραχών, του καρκίνου ή των μακροχρόνιων ασθενειών.

- **Φάρμακα σωματοκυτταρικής θεραπείας**

Τα φάρμακα σωματοκυτταρικής θεραπείας περιέχουν κύτταρα (μη γεννητικά κύτταρα) ή ιστούς που έχουν τροποποιηθεί για να αλλάξουν τα βιολογικά τους χαρακτηριστικά. Μπορούν να χρησιμοποιηθούν για τη θεραπεία, τη διάγνωση ή την πρόληψη ασθενειών. Ένα παράδειγμα σωματικής κυτταρικής θεραπείας είναι η χρήση των τροποποιημένων καρκινικών κυττάρων ενός ασθενούς για την καταπολέμηση των υπόλοιπων καρκινικών κυττάρων στο σώμα.

- **Φάρμακα κατασκευασμένα από ιστούς**

Τα φάρμακα που είναι κατασκευασμένα με τη χρήση ιστών περιέχουν κύτταρα ή ιστούς που έχουν κατασκευαστεί (τροποποιηθεί ουσιαστικά) ώστε να μπορούν να χρησιμοποιηθούν για την επισκευή, την αναγέννηση ή την αντικατάσταση ιστών. Παράδειγμα προϊόντος ιστικής μηχανικής είναι το τεχνητό δέρμα που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με εγκαύματα.

- **Συνδυασμένα ΑΤΜΠ**

Τα συνδυασμένα ΑΤΜΠ περιέχουν ένα ή περισσότερα ιατροτεχνολογικά προϊόντα ως αναπόσπαστο μέρος του φαρμάκου.

Αυτές οι θεραπείες προσφέρουν τεράστιες δυνατότητες για τους ασθενείς, επειδή οι τεχνολογίες που κρύβονται πίσω από τις προηγμένες θεραπείες μπορεί να έχουν θετικά μακροπρόθεσμα αποτελέσματα. Μπορούν να προσφέρουν μια αποτελεσματική θεραπεία για τους ασθενείς και στη συνέχεια να μειώσουν το μακροπρόθεσμο κόστος διαχείρισης της υγειονομικής περίθαλψης.

Παρόλο που δημιουργούν τεράστιες προσδοκίες, οι προηγμένες

θεραπείες συνδέονται επίσης με:

- **Νέους σημαντικούς κινδύνους** , όπως
 - Κίνδυνος λοίμωξης από ιό σε περίπτωση επανενεργοποίησης ενός ιικού φορέα
 - Κίνδυνος καρκίνου
 - Κίνδυνος για τους επαγγελματίες υγείας και τους φροντιστές σε περίπτωση τυχαίας έκθεσης στη θεραπεία
- **Ηθικά προβλήματα** , όπως
 - Μη σεβασμός των δικαιωμάτων των ζώντων δοτών λόγω έλλειψης ενημέρωσης
 - Χορήγηση μη δοκιμασμένων/μη ασφαλών προϊόντων (βλαστο)κυττάρων σε ασθενείς

Οι προηγμένες θεραπείες συχνά αναπτύσσονται από μικρές εταιρείες ή ερευνητικές μονάδες σε νοσοκομεία. Η νομοθεσία στην ΕΕ παρέχει κίνητρα για την ενθάρρυνση της έρευνας και της ανάπτυξης προηγμένων θεραπειών, παρέχοντας μειώσεις τελών για επιστημονικές συμβουλές από τον EMA. Νέες κανονιστικές διαδικασίες είναι διαθέσιμες στους προγραμματιστές ATMP (ταξινόμηση ATMP και πιστοποίηση ATMP).

Ρυθμιστικές έννοιες και ισχύουσα νομοθεσία

Από το 2008, όλα τα ATMP πρέπει να χρησιμοποιούν την κεντρική διαδικασία (ΚΔ). Αυτό διασφαλίζει ότι επωφελούνται από την ενιαία διαδικασία αξιολόγησης και αδειοδότησης που υπάρχει στην ΕΕ. Αυτό διευκολύνει τις εταιρείες στο να διαθέτουν τα προϊόντα τους στην αγορά και τους ασθενείς στα διάφορα κράτη μέλη στο να έχουν πρόσβαση στα προϊόντα αυτά.

Τα ATMP είναι σύνθετα φάρμακα που απαιτούν κριτήρια αξιολόγησης που υπερβαίνουν εκείνα που χρησιμοποιούνται στον παραδοσιακό φαρμακευτικό τομέα. Για παράδειγμα, για τα προϊόντα που περιέχουν ή αποτελούνται από γενετικά τροποποιημένους οργανισμούς (GMO), απαιτείται εκτίμηση

περιβαλλοντικού κινδύνου για την αξιολόγηση των κινδύνων για την ανθρώπινη υγεία και το περιβάλλον.

Η νομοθεσία ορίζει ότι η εμπειρογνωμοσύνη στο πλαίσιο της CAT πρέπει να καλύπτει όλους τους τομείς που σχετίζονται με τις προηγμένες θεραπείες, όπως:

- ιατροτεχνολογικά προϊόντα,
- ιστική μηχανική,
- γονιδιακή θεραπεία,
- κυτταρική θεραπεία,
- βιοτεχνολογία,
- χειρουργική επέμβαση,
- φαρμακοεπαγρύπνιση,
- διαχείριση κινδύνων και
- δεοντολογία.

Η CAT καταρτίζει σχέδιο γνώμης για κάθε προϊόν. Η γνωμοδότηση αυτή αποστέλλεται στη CHMP. Με βάση τη γνωμοδότηση της CAT, η CHMP υιοθετεί σύσταση σχετικά με τη χορήγηση/απόρριψη, τροποποίηση, αναστολή ή ανάκληση της άδειας κυκλοφορίας. Στη συνέχεια, η σύσταση αποστέλλεται στην Ευρωπαϊκή Επιτροπή για τη λήψη απόφασης σχετικά με την άδεια κυκλοφορίας.

Μόλις τα προϊόντα λάβουν άδεια κυκλοφορίας και διατεθούν στην αγορά, ο EMA διενεργεί περαιτέρω αξιολόγηση της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητάς τους. Ο EMA παρέχει επίσης επιστημονική υποστήριξη στις εταιρείες για να τις βοηθήσει να σχεδιάσουν συστήματα παρακολούθησης της ασφάλειας αυτών των φαρμάκων.

Οι εταιρείες που παρασκευάζουν ATMP πρέπει να είναι σε θέση να παρακολουθούν όλα τα προϊόντα τους από τον τόπο παρασκευής τους έως τα νοσοκομεία ή τα ιδρύματα όπου παραδίδονται στους ασθενείς. Τα νοσοκομεία υποχρεούνται επίσης να είναι σε θέση να εντοπίζουν όλους τους ασθενείς που λαμβάνουν αυτά τα φάρμακα. Τα υπάρχοντα συστήματα θα πρέπει να καθιστούν δυνατή την πλήρη ιχνηλασιμότητα, μέσω συστημάτων ανώνυμης

κωδικοποίησης στην περίπτωση των εξωτερικών δωρητών:

- Στο ίδρυμα ιστών: σύνδεση μεταξύ δότη και δωρεάς.
- Στον τόπο παρασκευής: σύνδεση μεταξύ δωρεάς και προϊόντος.
- Στο νοσοκομείο ή στο ιατρείο: σύνδεσμος μεταξύ του προϊόντος και του ασθενούς.

Περαιτέρω πόροι

- Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων (2015). *Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών (CAT)* . Ανακτήθηκε στις 3 Σεπτεμβρίου, 2015 από τη διεύθυνση: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P.(2012) *Tissue engineering*. Ανακτήθηκε στις 4 Σεπτεμβρίου 2015, από τη διεύθυνση: <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- Παγκόσμιος Οργανισμός Υγείας (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Ανακτήθηκε στις 4 Σεπτεμβρίου, 2015 από τη διεύθυνση: <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

Συνημμένα

A2-5.08.3-v1.1