

Commissies van het EMA: Het Comité voor geavanceerde therapieën (Committee for Advanced Therapies, CAT)

Inleiding

Het Comité voor geavanceerde therapieën (Committee for Advanced Therapies, CAT) van het Europees Geneesmiddelenbureau EMA evalueert de kwaliteit, veiligheid en werkzaamheid van geneesmiddelen voor geavanceerde therapie (ATMP's). Geneesmiddelen voor geavanceerde therapie (ATMP's) zijn geneesmiddelen voor gebruik bij de mens die zijn vervaardigd uit genen en cellen of weefsel en omvatten gentherapieën, geneesmiddelen voor somatische celtherapieën, geneesmiddelen die zijn gemaakt met behulp van weefseltechnologie, en combinatietherapieën. Het volgende artikel bevat meer informatie over ATMP's en bespreekt de regulatoire concepten en wetgeving die leidend zijn voor de activiteiten van de CAT.

Comité voor geavanceerde therapieën (CAT) van het EMA

ATMP's kunnen potentiële nieuwe behandelmogelijkheden bieden voor veel ziekten, zoals ziekte van Alzheimer, kanker, genetische aandoeningen zoals spierdystrofie, of huidverbranding.

ATMP's zijn onder te verdelen in vier hoofdgroepen:

- **Geneesmiddelen op basis van gentherapie (GTMP's)**
GTMP's bevatten genen die een therapeutisch effect

teweegbrengen. GTMP's plaatsen 'recombinante' genen in cellen, vaak met gebruik van een virus als vector om het gen te vervoeren. Een vector is een transportstof die wordt gebruikt om genetisch materiaal naar een doelcel te vervoeren. Een recombinant gen is een stukje DNA dat in het laboratorium is gemaakt en waarin DNA van verschillende herkomst wordt samengebracht. Wanneer het gen de cellen van de patiënt binnendringt, produceren de cellen een eiwit dat veel verschillende ziekten kan helpen vertragen of genezen, zoals genetische aandoeningen, kanker en chronische ziekten.

- **Geneesmiddelen voor somatische celtherapie**

Een geneesmiddel voor somatische celtherapie bevat cellen (geen geslachtscellen) of weefsels die zodanig zijn gemanipuleerd dat hun biologische kenmerken zijn veranderd. Ze kunnen worden gebruikt om ziekten te genezen, te diagnosticeren of te voorkomen. Een voorbeeld van somatische celtherapie is het gebruik van gemanipuleerde kankercellen van een patiënt om de achtergebleven kankercellen in het lichaam te bestrijden.

- **Geneesmiddelen op basis van weefseltechnologie**

Geneesmiddelen op basis van weefseltechnologie bevatten cellen of weefsels die zodanig zijn gemanipuleerd (substantieel gemodificeerd) dat ze kunnen worden gebruikt om weefsel te herstellen, regenereren of vervangen. Een voorbeeld van een product dat is gemaakt met behulp van weefseltechnologie is kunstmatige huid voor de behandeling van patiënten met brandwonden.

- **Gecombineerde ATMP's**

Gecombineerde ATMP's bevatten een of meer medische hulpmiddelen die integraal deel uitmaken van het geneesmiddel.

Deze behandelingen bieden vele mogelijkheden voor patiënten, omdat de technologieën achter geavanceerde therapieën positieve effecten op de lange termijn kunnen hebben. Ze

kunnen een effectieve behandeling opleveren voor patiënten en daarmee de langetermijncosten van gezondheidsmanagement verlagen.

Hoewel de verwachtingen zeer hoog zijn, gaan geavanceerde therapieën ook gepaard met:

- **Nieuwe significante risico's**, zoals
 - Risico op virusinfectie als een virale vector opnieuw actief wordt
 - Risico op kanker
 - Risico voor beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg en verzorgers bij onbedoelde blootstelling aan de behandeling
- **Ethische problemen**, zoals
 - Geen respect voor de rechten van levende donoren door gebrek aan informatie
 - Toediening van onbewezen/onveilige (stam)celproducten aan patiënten

Geavanceerde therapieën worden vaak door kleine bedrijven of onderzoeksafdelingen in ziekenhuizen ontwikkeld. In de EU-wetgeving zijn prikkels opgenomen om onderzoek en ontwikkeling van geavanceerde therapieën aan te moedigen door middel van kortingen op bedragen die het EMA in rekening brengt voor wetenschappelijk advies. Er zijn nieuwe toezichtprocedures beschikbaar voor ontwikkelaars van ATMP (ATMP-classificatie en ATMP-certificatie).

Regulatoire concepten en toepasselijke wetgeving

Sinds 2008 moet voor alle ATMP's verplicht de gecentraliseerde procedure worden gevolgd. Dit zorgt ervoor dat ze kunnen profiteren van de enige evaluatie- en goedkeuringsprocedure die beschikbaar is in de EU. Dit maakt het eenvoudiger voor bedrijven om hun producten te vermarkten en voor patiënten in verschillende lidstaten om deze producten te verkrijgen.

ATMP's zijn complexe geneesmiddelen waar beoordelingscriteria voor nodig zijn die verder gaan dan de criteria die worden toegepast op traditioneel farmaceutisch gebied. Zo is voor producten die (deels) genetisch gemodificeerde organismen (GGO's) bevatten een milieu-risicobeoordeling vereist om de risico's voor de menselijke gezondheid en het milieu te evalueren.

De wet schrijft voor dat de expertise binnen het CAT zich uitstrekt tot alle gebieden die betrekking hebben op geavanceerde therapieën, zoals:

- medische hulpmiddelen,
- weefseltechnologie,
- genterapie,
- celtherapie,
- biotechnologie,
- chirurgie,
- geneesmiddelenbewaking,
- risicobeheer, en
- ethiek.

Het CAT stelt een conceptadvies op voor elk product. Dit advies wordt naar het CHMP verstuurd. Het CHMP neemt op grond van het CAT-advies een aanbeveling aan over toelating/weigering, wijziging, opschorting of intrekking van een handelsvergunning. De aanbeveling wordt vervolgens doorgestuurd naar de Europese Commissie voor een besluit inzake de handelsvergunning.

Als de producten eenmaal zijn goedgekeurd en op de markt gebracht, voert het EMA verdere beoordelingen op het vlak van veiligheid en effectiviteit uit. Het EMA biedt bedrijven ook wetenschappelijke ondersteuning bij het ontwerpen van systemen om de veiligheid van deze geneesmiddelen te bewaken en controleren.

Bedrijven die ATMP's maken moeten al hun producten kunnen

traceren, van waar ze gemaakt zijn tot de ziekenhuizen of instellingen waar ze aan patiënten worden gegeven. Ziekenhuizen moeten ook alle patiënten kunnen traceren die deze geneesmiddelen krijgen. De bestaande systemen moeten, via anonieme coderingssystemen, volledige traceerbaarheid mogelijk maken in geval van externe donoren:

- Bij de weefselinstelling: koppeling tussen donor en donatie.
- Op de productielocatie: koppeling tussen donatie en product.
- In het ziekenhuis of de praktijk: koppeling tussen product en patiënt.

Overige informatiebronnen

- European Medicines Agency (2015). *Het Comité voor geavanceerde therapieën (Committee for Advanced Therapies, CAT)*. Geraadpleegd op 3 september 2015 op 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*. Geraadpleegd op 4 september 2015 op <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Geraadpleegd op 4 september 2015 op <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

Bijlagen

- Informatieblad ('factsheet'): Overzicht van regulatoire concepten en wetgeving, en de rol van

patiëntenorganisaties

Size: 98,100 bytes, Format: .docx

Dit informatieblad bevat een overzicht van de verschillende regulatoire concepten en wetgeving op het gebied van speciale geneesmiddelen, en informatie over de rol van patiëntenorganisaties in die wettelijke procedures.

- Informatieblad ('factsheet'): Overzicht van regulatoire concepten en wetgeving, en de rol van patiëntenorganisaties

Size: 98,100 bytes, Format: .docx

Dit informatieblad bevat een overzicht van de verschillende regulatoire concepten en wetgeving op het gebied van speciale geneesmiddelen, en informatie over de rol van patiëntenorganisaties in die wettelijke procedures.