

EMA-Ausschüsse: Ausschuss für neuartige Therapien (CAT)

Einleitung

Der Ausschuss für neuartige Therapien (CAT) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) beurteilt die Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit von Arzneimitteln für neuartige Therapien (Advanced-Therapy Medicinal Products, ATMPs). ATMPs sind Arzneimittel für die Anwendung am Menschen, die aus Genen, Zellen oder Geweben bestehen, also Gentherapeutika, somatische Zelltherapeutika und Produkte der biotechnologischen Gewebearbeitung (Tissue-Engineering) sowie Kombinationsprodukte. Der folgende Artikel enthält nähere Informationen über ATMPs und behandelt die zulassungsrechtlichen Grundlagen der Tätigkeit des CAT.

EMA-Ausschuss für neuartige Therapien (CAT)

ATMPs bieten neue Chancen für die Behandlung vieler Erkrankungen, beispielsweise Alzheimer-Krankheit, Krebs oder genetische Krankheiten wie Muskeldystrophie oder von Verbrennungen der Haut.

Es gibt vier große Gruppen von ATMPs:

- **Gentherapeutika (GTMPs)**

GTMPs (Gene Therapy Medicinal Products) enthalten Gene, die eine therapeutische Wirkung hervorrufen. Mithilfe von GTMPs werden „rekombinante“ Gene in Zellen eingeschleust, wobei häufig ein Virus als Vektor (Transportmittel) für den Transport des genetischen Materials in die Zielzelle verwendet wird. Ein

rekombinantes Gen ist ein DNA-Abschnitt, der im Labor aus DNA-Material unterschiedlicher Herkunft hergestellt wird. Wenn das Gen das Innere der Zellen erreicht, beginnen oder beenden diese die Herstellung eines Proteins, wodurch verschiedene Krankheiten verlangsamt oder geheilt werden können, darunter genetisch bedingte Erkrankungen, Krebs oder chronische Krankheiten.

- **Somatische Zelltherapeutika**

Somatische Zelltherapeutika enthalten Zellen (Nicht-Keimzellen) oder Gewebe, die so bearbeitet wurden, dass ihre biologischen Merkmale verändert wurden. Sie werden zur Heilung, Diagnose oder Verhütung von Krankheiten eingesetzt. Ein Beispiel für eine somatische Zelltherapie ist die Verwendung manipulierter Krebszellen eines Patienten zur Bekämpfung der anderen Krebszellen in seinem Körper.

- **Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte**

Diese Arzneimittel enthalten Zellen oder Gewebe, die so verarbeitet wurden, dass sie zur Reparatur oder Erneuerung oder als Ersatz für beschädigtes Gewebe verwendet werden können. Ein Beispiel hierfür ist künstliche Haut für die Behandlung von Verbrennungspatienten.

- **ATMP-Kombinationsprodukte**

ATMP-Kombinationsprodukte enthalten zusätzlich zum ATMP ein oder mehrere Medizinprodukte (also nicht-medikamentöse Produkte).

Neuartige Therapien stellen ein großes Potenzial für Patienten dar, weil die zugrunde liegenden Technologien eine positive langfristige Entwicklung der Krankheit bewirken können. Dadurch kann die Behandlung für den Patienten wirksamer und für die Kostenträger langfristig günstiger sein.

Außer mit großen Erwartungen sind neuartige Therapien aber

auch mit Folgendem verbunden:

- **Neue erhebliche Risiken** wie beispielsweise
 - Risiko einer Virusinfektion bei Reaktivierung eines als Vektor verwendeten Virus
 - Krebsrisiko
 - Risiko für Ärzte und Pflegepersonal bei versehentlichem Kontakt mit dem Arzneimittel
- **Ethische Probleme** wie beispielsweise
 - Vernachlässigung der Rechte lebender Spender durch mangelnde Information
 - Verabreichung unerprobter/unsicherer (Stamm-)Zellprodukte an Patienten

Neuartige Therapien werden oft von kleinen Unternehmen oder den Forschungsabteilungen von Krankenhäusern entwickelt. Die EU-Gesetzgebung enthält Anreize für die Erforschung und Entwicklung neuartiger Therapien in Form von Gebührenermäßigungen bei wissenschaftlicher Beratung durch die EMA. Den Entwicklern von ATMPs stehen neue Zulassungsverfahren offen (ATMP-Klassifizierung und -Zertifizierung).

Zulassungsrechtliche Konzepte und geltende Gesetze

Seit 2008 müssen alle ATMPs über das zentralisierte Verfahren (CP) zugelassen werden. Dadurch ist gewährleistet, dass sie das in der EU verfügbare einheitliche Bewertungs- und Zulassungsverfahren durchlaufen. Das erleichtert den Unternehmen die Vermarktung ihrer Produkte und den Patienten in verschiedenen Mitgliedstaaten den Zugang zu diesen Produkten.

ATMPs sind komplexe Arzneimittel, für die ganz andere Beurteilungskriterien gelten als im traditionellen pharmazeutischen Bereich. Beispielsweise ist für Produkte mit oder aus genetisch veränderten Organismen (GVO) eine Umwelt-Risikobewertung erforderlich, um die Risiken für Mensch und

Umwelt zu beurteilen.

Die Gesetzgebung verlangt, dass im CAT die für die neuartigen Therapien relevanten wissenschaftlichen Fachgebiete abgedeckt sind, darunter

- Medizinprodukte,
- biotechnologische Gewebearbeitung,
- Gentherapie,
- Zelltherapie,
- Biotechnologie,
- Chirurgie,
- Pharmakovigilanz,
- Risikomanagement und
- Ethik.

Der CAT gibt zu jedem Arzneimittel den Entwurf eines Gutachtens ab. Dieses wird dem CHMP vorgelegt. Auf dieser Grundlage gibt der CHMP eine Empfehlung über Erteilung/Ablehnung, Abänderung, Aussetzung oder Widerruf einer Marktzulassung ab. Diese Empfehlung wird an die Europäische Kommission übermittelt, die eine Entscheidung über die Marktzulassung trifft.

Auch nach der Marktzulassung der Arzneimittel führt die EMA noch Beurteilungen ihrer Sicherheit und Wirksamkeit durch. Die EMA bietet außerdem wissenschaftliche Beratung für Unternehmen bei der Einrichtung von Systemen zur Sicherheitsüberwachung.

Hersteller von ATMPs müssen alle ihre Produkte vom Herstellort bis zum Krankenhaus oder Institut, wo sie verabreicht werden, verfolgen können. Die Krankenhäuser müssen außerdem auch alle Patienten, die diese Arzneimittel erhalten, weiter verfolgen können. Die dafür notwendigen Systeme sollten diese lückenlose Rückverfolgbarkeit im Falle externer Spender über anonyme Codiersysteme ermöglichen:

- In der Gewebearbeitung: Verknüpfung zwischen Spende und Spender.

- Bei der Herstellung: Verknüpfung zwischen Spende und Produkt.
- Im Krankenhaus oder in der Praxis: Verknüpfung zwischen Produkt und Patient.

Weitergehende Informationen

- Europäische Arzneimittel-Agentur (2015). *Ausschuss für neuartige Therapien (CAT)*. http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp (Stand: 03. September 2015)
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232> (Stand: 04. September 2015)
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/> (Stand: 04. September 2015)

Anlagen

- Datenblatt: Zusammenfassung zulassungsrechtlicher Grundlagen und Funktion von Patientenorganisationen
Size: 99,435 bytes, Format: .docx
Dieses Datenblatt bietet einen Überblick über die verschiedenen zulassungsrechtlichen Grundlagen im Zusammenhang mit besonderen Arzneimitteln sowie Informationen zur Rolle von Patientenorganisationen in diesen Zulassungsprozessen.