EMA:s kommittéer:kommittén för avancerade terapier (CAT)

Inledning

Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA:s) kommitté för avancerade terapier (Committee for Advanced Therapies; CAT) bedömer kvaliteten, säkerheten och effekten för läkemedelsprodukter för avancerad terapi (ATMP).Läkemedel för avancerad terapi är läkemedel för användning på människor som framställs från gener och celler eller vävnader och innefattar genterapier, läkemedel för somatisk cellterapi, vävnadstekniska läkemedel och kombinerade terapier.Följande artikel innehåller mer information om läkemedel för avancerad terapi och beskriver de regulatoriska principer och den lagstiftning som styr CAT:s aktiviteter.

EMA:s kommitté för avancerade terapier (CAT)

Läkemedel för avancerad terapi kan innebära potentiella nya behandlingsmöjligheter för många sjukdomar, till exempel Alzheimers sjukdom, cancer, genetiska sjukdomar som muskeldystrofi eller brännskador i huden.

Det finns fyra huvudgrupper av läkemedel för avancerad terapi:

- **Läkemedel för genterapi (GTMP)**
  Läkemedel för genterapi innehåller gener som har en terapeutisk effekt.Med läkemedel för genterapi förs ”rekombinanta” gener in i celler, ofta med ett virus som vektor (bärare som används för att överföra genetiskt material till en målcell) för att transportera genen.En rekombinant gen är en DNA-sträng som skapas i

laboratoriet genom sammanställning av DNA från olika källor.När genen kommer in i patientens celler producerar cellerna ett protein som kan hjälpa till att sakta ner eller bota en mängd olika sjukdomar, bland annat genetiska sjukdomar, cancer eller långvariga sjukdomar.

- **Läkemedel för somatisk cellterapi**
  Läkemedel för somatisk cellterapi innehåller celler (som inte är könsceller) eller vävnader som har manipulerats i syfte att förändra deras biologiska egenskaper.De kan användas för att bota, diagnostisera eller förebygga sjukdomar.Ett exempel på somatisk cellterapi är användning av en patients manipulerade cancerceller för att bekämpa kvarvarande cancerceller i kroppen.
- **Vävnadstekniska läkemedel**
  Vävnadstekniska läkemedel innehåller celler eller vävnader som har manipulerats (påtagligt förändrats) så att de kan användas för att reparera, återbilda eller ersätta vävnad.Ett exempel på en vävnadsteknisk produkt är konstgjord hud som används för att behandla patienter med brännskador.
- **Kombinationsläkemedel för avancerad terapi**
  Kombinationsläkemedel för avancerad terapi innehåller en eller flera medicintekniska produkter som en integrerad del av läkemedlet.

Dessa läkemedel har stor potential för att hjälpa patienterna, eftersom teknikerna bakom avancerade terapier kan ha positiva långtidseffekter.De kan ge patienterna möjlighet till en effektiv behandling och därigenom medföra en långsiktig minskning av sjukvårdskostnaderna.

Avancerade terapier skapar stora förväntningar, men de är också förknippande med

- **nya betydande risker**, till exempel
  - risk för virusinfektion om en viral vektor återaktiveras

        - risk för cancer
        - risk för sjukvårdspersonal och vårdgivare om de oavsiktligt exponeras för behandlingen
    - **etiska problem**, till exempel
        - bristande respekt för levande donatorers rättigheter genom brist på information
        - tillförsel av obeprövade/osäkra cellprodukter (eller stamcellsprodukter) till patienter.

Avancerade terapier utvecklas ofta av små företag eller forskningsenheter på sjukhus.EU:s lagstiftning innehåller incitament för att uppmuntra forskning och utveckling av avancerade terapier genom att erbjuda vetenskaplig rådgivning från EMA till en lägre kostnad.Nya regulatoriska förfaranden är tillgängliga för utvecklare av läkemedel för avancerad terapi (ATMP-klassificering och ATMP-certifiering).

Regulatoriska principer och tillämplig lagstiftning

Sedan 2008 måste det centraliserade förfarandet (CP) användas för alla läkemedel för avancerad terapi.Detta säkerställer att de kan dra nytta av det gemensamma förfarandet för utvärdering och godkännande inom EU.På så sätt blir det enklare för företag att sälja sina produkter och för patienter i olika medlemsstater att få tillgång till produkterna.

Läkemedel för avancerad terapi är komplexa läkemedel. För dessa läkemedel krävs bedömningskriterier som går utöver de kriterier som används i det traditionella farmaceutiska området.Som ett exempel kan nämnas produkter som innehåller eller består av genetiskt modifierade organismer (GMO), för vilka en miljömässig riskbedömning krävs för att utvärdera riskerna för människors hälsa och för miljön.

Lagstiftningen kräver att expertkunskaperna inom kommittén för avancerade terapier omfattar alla områden som är relevanta för avancerade terapier, bland annat

- medicintekniska produkter
- vävnadsteknik
- genterapi
- cellterapi
- bioteknik
- kirurgi
- farmakovigilans
- riskhantering
- etik.

Kommittén för avancerade terapier (CAT) utarbetar ett förslag till yttrande för varje produkt.Detta yttrande skickas till kommittén för humanläkemedel (CHMP).Baserat på yttrandet från CAT ger CHMP en rekommendation om beviljande/avslag, ändring, tillfälligt upphävande eller återkallande av ett godkännande för försäljning.Rekommendationen skickas sedan till Europeiska kommissionen för ett beslut om godkännande för försäljning.

När produkterna är godkända och marknadsförda gör EMA en ytterligare bedömning av deras säkerhet och effektivitet.EMA ger även vetenskapligt stöd till företag för att hjälpa dem utforma system för övervakning av säkerheten för dessa läkemedel.

Företag som framställer läkemedel för avancerad terapi måste kunna spåra alla sina produkter från platsen där de tillverkas till de sjukhus eller institutioner där de ges till patienter.Även sjukhusen måste kunna spåra alla patienter som får dem.Systemen ska ge möjlighet till fullständig spårbarhet, genom anonyma kodsystem när externa donatorer används:

- på vävnadsinstitutionen:koppling mellan donator och donation
- på tillverkningsstället:koppling mellan donation och produkt
- på sjukhuset eller mottagningen:koppling mellan produkt och patient.

Ytterligare resurser

- European Medicines Agency (2015).*Committee for Advanced Therapies (CAT)*.Retrieved 3 September, 2015 from 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*.Retrieved 4 September, 2015, from http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232
- World Health Organisation (2015).*Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*.Retrieved 4 September, 2015 from http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/

Bilagor

A2-5.08.3-v1.1