

# Framställa ett läkemedel. Steg 9: Inlämning till tillsynsmyndighet

## Inledning

Det tar över 12 år och kostar i genomsnitt över 1 miljard euro att genomföra all nödvändig forskning och utveckling innan ett nytt läkemedel är tillgängligt för användning av patienter.

Läkemedelsutveckling är ett högriskprojekt. Majoriteten av de substanser (omkring 98 procent) som utvecklas lyckas inte nå marknaden som nya läkemedel. Detta beror främst på att granskningen av nyttan och riskerna (negativa biverkningar) som upptäcks under utvecklingen medför att de inte kan konkurrera med de läkemedel som redan finns tillgängliga för patienter.

Utvecklingen av ett nytt läkemedel kan delas in i tio olika steg. Följande artikel behandlar steg 9: Inlämning till tillsynsmyndighet och ansökan om godkännande för försäljning.

## Steg 9: Inlämning till tillsynsmyndighet (ansökan om godkännande för försäljning)

Om resultaten från de kliniska fas III-studierna uppvisar ett acceptabelt förhållande mellan nytta och risk kan en ansökan om godkännande för försäljning förberedas. All information (icke-klinisk och klinisk information samt tillverkningsinformation) samlas in och ordnas i ett förutbestämt format. Detta kallas för dossier och skickas till

tillsynsmyndigheterna. Expertisen hos personalen på tillsynsmyndighetens avdelningar är mycket viktig eftersom kraven skiljer sig något mellan olika tillsynsmyndigheter runtom i världen.

Den internationella kommittén för harmonisering (ICH) har harmoniserat många av kraven för USA, Europa och Japan. Detta har gjort att upprepningar av test har minskat och att processen har förenklats, vilket har resulterat i ett gemensamt tekniskt dokument (CTD) för granskning.

När dossiern har mottagits granskar tillsynsmyndigheten informationen och skickar frågor som ska besvaras av personalen på den tillsynsmyndighetsavdelning som skickade dokumentet. När tillsynsmyndigheten är nöjd med resultaten (bedömningen av nytta och risker) ger den sitt godkännande för försäljning av det nya läkemedlet. Granskningsprocessen tar vanligtvis 12 till 18 månader. Denna period kan vara kortare i särskilda fall efter överenskommelse med tillsynsmyndigheterna, men kan förlängas om det finns många frågor att besvara. Myndigheterna kan kräva att fler kliniska studier utförs innan de är redo att ge sitt godkännande. Läkemedlet tillåts inte komma ut på marknaden förrän tillsynsmyndigheterna är nöjda. Ibland föreligger omständigheter som inte kan accepteras av tillsynsmyndigheterna och läkemedlet godkänns då inte för att släppas ut på marknaden.

I många länder krävs också studier av kostnadseffektiviteten för det nya läkemedlet. Dessa dokument är till hjälp för regeringar eller försäkringsbolag för att via HTA-grupper (Health Technology Assessment; medicinsk metodutvärdering) fatta beslut och ge rekommendationer om huruvida det ska vara tillåtet att ordinera läkemedlet och om det ska betalas av landets försäkringssystem.

Ett välkänt HTA-organ är National Institute for Clinical Excellence (NICE) i Storbritannien. NICE ger rekommendationer

om huruvida regeringen ska tillåta att ett läkemedel ordinerar.

## Referenser

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Eds.). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3rd ed.). Oxford: Wiley-Blackwell.

## Bilagor

A2-1.02.8-v1.1