

# **Komitety działające w ramach Europejskiej Agencji Leków (ang. European Medicines Agency, EMA): Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (ang. Committee for Advanced Therapies, CAT)**

## **Wprowadzenie**

Komitet ds. Terapii Zaawansowanych działający w ramach Europejskiej Agencji Leków dokonuje oceny jakości, bezpieczeństwa i skuteczności stosowania produktów leczniczych terapii zaawansowanej (ang. Advanced-Therapy Medicinal Products, ATMPs). Produkty lecznicze terapii zaawansowanej to leki stosowane u ludzi, które są wykonane z genów, komórek bądź tkanek i obejmują terapię genową, leki stosowane w somatycznej terapii komórkowej, inżynierii tkankowej oraz leczenie skojarzone. Poniższy artykuł zawiera więcej informacji na temat produktów leczniczych terapii zaawansowanej i omawia koncepcje regulacyjne oraz ustawodawstwo kierujące działalnością Komitetu ds. Terapii Zaawansowanych.

## **Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (ang. Committee for Advanced**

# Therapies, CAT) działający w ramach Europejskiej Agencji Leków

Produkty lecznicze terapii zaawansowanej mogą zaoferować potencjalnie nowe możliwości leczenia wielu chorób, takich jak choroby Alzheimera, raka, chorób genetycznych np. dystrofii mięśni lub oparzeń skóry.

Istnieją cztery główne grupy produktów leczniczych terapii zaawansowanej:

- **Leki terapii genowej (ang. Gene-Therapy Medicines, GTMPs)**

Leki terapii genowej zawierają geny i ich stosowanie umożliwia osiągnięcie efektów terapeutycznych. Leki terapii genowej wprowadzają geny „rekombinowane” do komórek, często z wykorzystaniem wektora wirusowego do przenoszenia genu (wektor to cząsteczka służąca do przenoszenia materiału genetycznego do komórki docelowej). Gen rekombinowany jest odcinkiem DNA utworzonym w laboratorium przez połączenie DNA pochodzącego z różnych źródeł. Po wprowadzeniu genu do komórek pacjenta, komórki produkują lub wytwarzają białka, które mogą spowolnić bądź wyleczyć niektóre choroby, w tym choroby genetyczne, nowotworowe lub przewlekłe.

- **Leki stosowane w somatycznej terapii komórkowej**

Leki do terapii z zastosowaniem komórek somatycznych zawierają komórki (inne niż komórki gonad) lub tkanki poddane manipulacjom zmieniającym ich cechy biologiczne. Mogą być stosowane do leczenia, diagnostyki lub profilaktyki chorób. Przykładem terapii z zastosowaniem komórek somatycznych jest użycie zmodyfikowanych komórek nowotworowych pacjenta do walki z pozostałymi w organizmie komórkami nowotworu.

- **Leki stosowane w inżynierii tkankowej**

Leki stosowane w inżynierii tkankowej zawierają komórki lub tkanki, które zostały zmodyfikowane (zasadniczo zmienione) dzięki czemu mogą być używane do naprawy, regeneracji lub wymiany tkanki. Przykładem produktu inżynierii tkankowej jest sztuczna skóra stosowana w leczeniu pacjentów z oparzeniami.

- **Produkty lecznicze terapii zaawansowanej wykorzystywane w leczeniu skojarzonym**

Produkty lecznicze skojarzonej terapii zaawansowanej zawierają jedno lub więcej urządzeń medycznych będących integralną częścią leku.

Oferują wielki potencjał w zakresie leczenia, gdyż technologia związana z terapiami zaawansowanymi może przynieść korzyści długoterminowe. Mogą one stanowić skuteczny sposób leczenia pacjentów i w rezultacie doprowadzić do obniżenia kosztów długoterminowej opieki zdrowotnej.

Chociaż terapie zaawansowane wzbudzają wielkie oczekiwania to ich stosowanie wiąże się także z:

- **Nowym znaczącym ryzykiem**, takim jak

- Ryzyko zakażenia wirusowego w przypadku, gdy dojdzie do reaktywacji wektora wirusowego
- Ryzyko zachorowania na raka
- Ryzyko przypadkowego narażenia na leczenie pracowników służby zdrowia i opiekunów

- **Problemami etycznymi**, takimi jak

- Nieprzestrzeganie praw żywych dawców z powodu braku informacji
- Podawanie pacjentom niesprawdzonych/niebezpiecznych produktów zawierających komórki (macierzyste)

Zaawansowane metody leczenia są często opracowywane przez małe firmy lub jednostki badawcze w szpitalach. Prawodawstwo UE

stosuje zachęty wspierające badania i rozwój terapii zaawansowanych, zapewniając obniżenie opłat za doradztwo naukowe w Europejskiej Agencji Leków. Udostępniono nowe procedury regulacyjne skierowane do producentów produktów leczniczych terapii zaawansowanej (klasyfikacja i certyfikacja produktów leczniczych terapii zaawansowanej).

## **Obowiązujące koncepcje regulacyjne oraz ustawodawstwo**

Od roku 2008 wszystkie produkty lecznicze terapii zaawansowanej muszą używać procedury scentralizowanej. Gwarantuje to skorzystanie z jednej oceny i jednej procedury wydawania zezwoleń dostępnych na terenie UE. Ułatwia to firmom sprzedaż produktów, a pacjentom z różnych państw członkowskich dostęp do tych produktów.

Produkty lecznicze terapii zaawansowanej to złożone leki, do których zastosowanie mają kryteria wykraczające poza te używane w tradycyjnej branży farmaceutycznej. Na przykład, w przypadku produktów zawierających lub składających się z organizmów genetycznie zmodyfikowanych (ang. Genetically Modified Organism, GMO) wymagana jest ocena ryzyka dla środowiska w celu oszacowania zagrożenia dla zdrowia ludzkiego i środowiska.

Prawo wymaga, aby członkowie Komitetu ds. Terapii Zaawansowanych posiadali specjalistyczną wiedzę obejmującą wszystkie obszary istotne dla terapii zaawansowanych, w tym:

- urzędnicy medyczni,
- inżynierię tkankową,
- terapię genową,
- terapię z zastosowaniem komórek,
- biotechnologię,
- chirurgię,
- nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii,
- zarządzanie ryzykiem oraz

- etykę.

Komitet ds. Terapii Zaawansowanych sporządza projekt opinii na temat każdego produktu. Opinia ta jest przesyłana do Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (ang. Committee on Medicinal Products for Human Use, CHMP). Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi przyjmuje zalecenie w sprawie przyznania/odmowy, zmiany, zawieszenia lub cofnięcia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w oparciu o opinię Komitetu ds. Terapii Zaawansowanych. Zalecenie jest następnie przesyłane do Komisji Europejskiej w celu podjęcia decyzji w sprawie dopuszczenia do obrotu.

Po wydaniu pozwolenia i dopuszczeniu produktów do obrotu Europejska Agencja Leków dokonuje dalszej oceny ich bezpieczeństwa i skuteczności. Europejska Agencja Leków zapewnia także wsparcie naukowe dla firm, aby wspomóc projektowanie systemów monitorowania bezpieczeństwa tych leków.

Firmy produkujące produkty lecznicze terapii zaawansowanej muszą śledzić wszystkie swoje produkty od miejsca ich wytworzenia do szpitali bądź placówek, w których są podawane pacjentom. Szpitale muszą również śledzić wszystkich pacjentów, którzy je otrzymują. Istniejące systemy powinny umożliwiać pełną identyfikowalność przez zastosowanie anonimowych systemów kodowania w przypadku dawców zewnętrznych:

- W banku tkanek: związek pomiędzy dawcą i dawstwem.
- W miejscu wytwarzania: związek między dawstwem i produktem.
- W szpitalu lub gabinecie: związek między produktem i pacjentem.

## Inne zasoby

- European Medicines Agency (2015). *Committee for Advanced Therapies (CAT)*. Pobrano 3 września 2015 r. ze strony [http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about\\_us/general/general\\_content\\_000266.jsp](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*. Pobrano 4 września 2015 r. ze strony <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Pobrano 4 września 2015 r. ze strony <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

## Załączniki

- Arkusz informacyjny: Podsumowanie koncepcji prawnych i przepisów prawa oraz rola organizacji pacjenckich

Size: 99,702 bytes, Format: .docx

Niniejsza broszura zawiera przegląd różnych koncepcji prawnych i przepisów prawa dotyczących specjalnych produktów leczniczych, a także informacje na temat roli organizacji pacjenckich w tych procesach regulacyjnych.