

NOTAT

Bilag til endelig besvarelse af SUU alm. del spm. 1192

Lægemiddelstyrelsen har indhentet bidrag fra øvrige EU-medlemslande i forbindelse med besvarelsen af SUU alm. del spm. 1192. I alt 25 lande er vendt tilbage med besvarelser.

Lægemiddelstyrelsen oplyser generelt om de modtagne besvarelser:

"Vi har modtaget bidrag fra mange (men ikke alle) lande, og detaljeringsgraden i svarene har varieret en hel del. Vi har oversat efter bedste evne, men bidraget er hæmmet af, at der bruges begreber, der ikke nødvendigvis kan overføres direkte til Danmark, der måske ikke har helt tilsvarende strukturer eller programmer. Eksempelvis har visse lande svaret, at de har et early access program for navngivne patienter, mens andre har svaret at de har et program for individuelle patienter. Det må formodes, at begge begreber betyder det samme, men det kan ikke udelukkes, at der kan være forskelle.

Belgien, Frankrig, Italien, Sverige, Finland, Tjekkiet, Estland, Letland, Litauen, Grækenland og Østrig har tilkendegivet, at der er mulighed for tilskud til lægemidler i deres early access programmer, eller at patienten på anden vis skal friholdes for udgifter."

Lægemiddelstyrelsens oversigt over besvarelser fra de 25 medlemslande:

Spanien

Spanien har 2 former for early access programmer, nemlig patientbaserede programmer og midlertidige tilladelser. Hovedbetingelsen for anvendelsen af lægemidlet er, at der ikke findes noget alternativ på markedet eller at der findes alternativer, der har vist sig ikke at virke, samt at patienten lider af en alvorligt svækkende lidelse.

Nederlandene

For alvorligt svækkende lidelser, hvor et markedsført alternativ ikke kan anvendes, kan fremstilleren af et ikke godkendt lægemiddel, der ville kunne opnå en markedsføringstilladelse i fremtiden, ansøge om at produktet indgår i et compassionate use program.

Et ikke godkendt lægemiddel kan også ordineres af en læge for en navngiven patient, hvis der ikke findes markedsførte alternativer. I så fald skal lægen anmode fremstilleren, en distributør eller et apotek om at søge myndighedens godkendelse til udlevering.

Irland

Irland har oplyst, at der ikke er nogen early access programmer i landet, men at lægen kan ordinere magistrelt.

Island

En læge kan undtagelsesvist få tilladelse til at ordinere et produkt, der ikke har en markedsføringstilladelse.

Sverige

Sverige har 2 former for early access programmer, et compassionate use program og et system med tilladelser til navngivne patienter. Sverige har henvist til den svenske lægemiddelmyndigheds hjemmeside for nærmere oplysninger om betingelserne for compassionate use programmet:

<https://lakemedelsverket.se/malgrupp/Foretag/Lakemedel/Compassionate-Use-Program/>

Den svenske lægemiddelmyndighed kan tillade ordination af et ikke godkendt lægemiddel til en navngiven patient, hvis lægemidlet vurderes at være i overensstemmelse med kravene til kvalitet og god fremstillingspraksis.

Kroatien

Ingen early access programmer, men hvert tilfælde, hvor markedsførte lægemidler ikke kan anvendes, vurderes konkret af Sundhedsministeriet.

Østrig

Der er et early access program, hvor ikke godkendte lægemidler kan udleveres, hvis der ikke findes godkendte alternativer, der effektivt kan behandle for en sygdom eller forebygge smitsom sygdom. Udlevering kan ligeledes ske til diagnostiske formål eller hvis der er tale om tilstande, der udgør en alvorlig fare for menneskelig sundhed. Anvendelsen skal være fastlagt på i et terapeutisk program, som navnlig fastsætter:

- 1. lægemidlet, der skal anvendes,*
- 2. fremstilleren og distributøren eller importøren*
- 3. relevant patientgruppe*
- 4. monitorering og evaluering med hensyn til kvalitet, sikkerhed og effekt*
- 5. steder hvor programmet udbydes*
- 6. Programmets rationale*

Programmet skal godkendes af Sundhedsministeriet.

Slovenien

Der er et compassionate use program samt et program baseret på navngivne patienter. Betingelserne for compassionate use programmet er dem, der findes i artikel 83 i forordning 2004/726.

Under ganske særlige omstændigheder kan lægen også ansøge om tilladelse til import af lægemidler, hvis der er et behandlingsbehov, der ikke dækkes af godkendte tilgængelige alternativer.

Slovakiet

Ingen early access programmer.

Malta

Malta har et early access program i form af et compassionate use program i henhold til artikel 83 i forordning 2004/726.

Portugal

Et Early Access Program er tilgængeligt for grupper af patienter med kronisk eller alvorligt svækkende sygdomme, som ikke kan behandles med godkendte alternativer. Lægemiddelvirksomheden skal ansøge det portugisiske lægemiddelagentur herom. Anvendelse kan derefter kun ske efter ansøgning om anvendelse fra et hospital.

Myndighederne baserer tilladelsen på en konkret vurdering af:

- formål og rationale med det ansøgte produkt
- Therapeutiske indikationer;
- målgruppe samt inklusions- eksklusionskriterier;
- mængde og dosis;
- Estimeret antal patienter
- Maksimum antal patienter
- Lægemidlets form og kvantitative og kvalitative beskaffenhed
- angivelse af medlemsstat, hvor eventuel ansøgning om markedsføringsføringstilladelse er indgivet;
- Produktets regulatoriske status;
- eventuelt dossier hos EMA eller anden EU medlemsstat
- eventuelt scientific advice fra lægemiddelmyndigheder
- eventuelt produktresume
- eventuel anden information til patienter eller indlægsseddel;

Tjekkiet

Der er et early access program, hvor ikke godkendte lægemidler kan udleveres, hvis der ikke findes godkendte alternativer, der effektivt kan behandle for en sygdom eller forebygge smitsom sygdom. Udlevering kan ligeledes ske til diagnostiske formål eller hvis der er tale om tilstande, der udgør en alvorlig fare for menneskelig sundhed. Anvendelsen skal være fastlagt på i et terapeutisk program, som navnlig fastsætter:

- lægemidlet, der skal anvendes,
- fremstilleren og distributøren eller importøren
- relevant patientgruppe
- monitorering og evaluering med hensyn til kvalitet, sikkerhed og effekt
- steder hvor programmet udbydes
- Programmets rationale

Programmet skal godkendes af Sundhedsministeriet.

Belgien

Belgien har to early access programmer og de har givet dybdegående information om programmerne i dette link: https://www.fagg-afmps.be/sites/default/files/content/guidance_v1.7.pdf

UK

UK har et early access program (EAMS) og nærmere information herom findes her:

<https://www.gov.uk/guidance/apply-for-the-early-access-to-medicines-scheme-eams>

-

EAMS har til formål at give patienter adgang til medicin.

Lægemiddelmyndigheden giver scientific advice om fordele/risici ved lægemidlet. EAMS omfatter primært medicin, som har gennemgået fase 3 kliniske forsøg, men kan under særlige omstændigheder også omfatte lægemidler efter fase 2 forsøg. Kriterierne for positivt scientific advice er

1. (a) livstruende eller alvorligt svækkende tilstand
(b) ingen alternativer eller at alternativerne har alvorlige begrænsninger
2. lægemidlet giver væsentlige fordele i forhold til tilgængelige metoder
3. Forventning om positiv fordel/risiko balance
4. Opfyldning af kvalitetsstandarder (GMP)

Ungarn

Lægemiddelmyndigheden kan tillade brug af lægemidler uden markedsføringstilladelse inden for et udleveringstilladelsessystem baseret på navngivne patienter.

Lægen skal ansøge om lov og skal i ansøgningen give begrundelse for den påtænkte anvendelse samt levere dokumentation for alle forhold, der kan få indflydelse på patienten.

Lægen skal kunne påvise, at der er tale om en kronisk sygdom eller en sygdom, der alvorligt svækker patientens tilstand, og som ikke kan behandles med godkendte og markedsførte alternativer. Lægen skal ligeledes sikre sig, at patienten ikke kan deltage i et relevant klinisk forsøg med lægemidlet.

Lægen tilpligtes også at indsende en rapport om sikkerhed og effekt ved lægemidlet enten efter anvendelsens ophør eller i faste intervaller.

Myndigheden skal offentliggøre sine beslutning om tilladelser.

Estland

Estland har et early access program, der kræver, enten

- at der for lægemidlet er indsendt en godkendelsesansøgning efter den centrale procedure, eller
- lægemidlet anvendes for same indikationer som i et klinisk forsøg eller at ansøgningen stadig er under behandling.
- Lægemidlet bruges som sidste behandlingsalternativ for en livstruende sygdom, hvor der ikke findes alternativer på markedet eller at ikke alternativerne ikke kan bruges på grund af patientens tilstand, eller
- Lægemidlet bruges for til patients med en kronisk eller alvorligt svækkende sygdom, som ikke kan behandles med godkendte alternativer eller som ikke kan deltage i relevante kliniske forsøg.

-

Tyskland

Tyskland har et compassionate program og har henvist til deres hjemmeside for uddybende oplysninger:

[BfArM - "Compassionate Use" Programmes](#)

[PEI – Compassionate Use Programmes](#)

https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/EN/Drugs/licensing/clinicalTrials/compUse/AMHV_en.pdf?__blob=publicationFile&v=3

Grækenland

Grækenland har *early access* programmer dels for grupper af patienter eller for navngivne individuelle patienter.

Programmet for grupper af patienter foregår under sponsors ansvar efter tilladelse fra lægemiddelmyndigheden programmet omfatter lægemidler, der har gennemgået et fase 3 klinisk forsøg. I programmet for navngivne patienter leveres lægemidlet under særlige omstændigheder og under lægens ansvar. Programmet omfatter lægemidler, der anvendes i et igangværende fase 3 forsøg eller, som har afsluttet et fase 2 forsøg, er der tale om lægemidler til sjældne sygdomme kan lægemidler, der anvendes i et igangværende fase 2 forsøg, også accepteres.

Litauen

Litauen har et program baseret på navngivne patienter, hvor ikke godkendte lægemidler, der dog er godkendte i et andet medlemsland eller i fremstillers land kan udleveres på lægens ansvar. Betingelsen er, at der ikke findes godkendte alternativer, eller at disse alternativer ikke giver tilfredsstillende behandling.

Italien

Italien har 3 programmer: *compassionate use*, tilladelser til navngivne patienter ved livstruende eller sjældne sygdomme samt et system hvor lægemidler optages på en liste af lægemiddelmyndigheden. Betingelserne er, at der mangler terapeutiske alternativer, og at der er tale om livstruende eller sjældne sygdomme. Tilfredsstillende *scientific advice* skal være tilgængeligt.

Letland

Letland har et *early access* system. Letland har henvist til deres lovgivning for yderligere informationer: <http://likumi.lv/doc.php?id=159645>

Norge

Norge har et *compassionate use* program og system for navngivne patienter. Mere information om *compassionate use* programmet findes her: <https://legemiddelverket.no/english/clinical-trials/compassionate-use-program#1>

Systemet for navngivne patienter kræver, at lægen ansøger og gør rede for hvorfor lægemidlet skal bruges, og hvorfor et markedsført alternativ ikke kan anvendes. Udleveringen sker på lægens ansvar. Mere information om systemet for navngivne patienter findes her på norsk:

<https://legemiddelverket.no/godkjenningsfritak/godkjenningsfritak-for-legemidler-til-mennesker#generelt-for-alle-søknader>

Finland

Finland har et udleveringstilladelsessystem baseret på individuelle patienter, hvor lægen skal indsende en begrundet ansøgning til myndigheden.

Rumænien

Rumænien har et *compassionate use* program i overensstemmelse med artikel 83 i forordning 726/2004.

Frankrig

Frankrig har 2 early access systemer i form af midlertidige tilladelser til brug af ikke godkendte lægemidler, hvis der er tale om alvorlige sygdomme og sjældne sygdomme, der ikke kan behandles med godkendt medicin. Det eneste system omhandler individuelle patienter under lægens ansvar. Det andet system omhandler grupper af patienter, som skal behandles efter en nærmere protokol og efter ansøgning fra en virksomhed, der har lægemidlet under ansøgning om godkendelse, eller som er i gang med at indgive en ansøgning om godkendelse.

Mere information findes her:

https://www.anism.sante.fr/content/download/79919/1011615/version/1/file/Notice-aapplicants-marketing_ATU.pdf