

## Mer information om procedurer, säräkemedel, försäljningsgodkännanden

### Olika procedurer och tidtabeller (översikt)

En översikt över procedurer för försäljningstillstånd ses i tabell 3 nedan. Med undantag av MRP och den accelererade processen så är utredningstiden den samma i alla procedurer. DCP och MRP (inklusive repeat use) är de vanligast godkännande procedurerna. Under 2016 var antalet finaliserade DCP'er 1133 stycken vilket ska jämföras med 81 avslutade (positiva rekommendationer) i den centrala proceduren. DCP och MRP är de vanligaste processerna för generika, hybrider och bibliografiska ansökningar (s.k. well established use, WEU ansökningar), och endast en ny NCE hanterades i DCP under 2016. I den centrala proceduren hanterades under 2016, totalt 27 nya substanser och under 3013 till 2016 har andelen varierar mellan 30-50% (se tabell 2). I clock-stop ges företaget möjlighet att besvara de frågor som utredningen har genererat. Det första s.k. clock-stoppet kan vara 3 månader som kan förlängas till 6 månader om företaget så önskar för att ta fram begärt underlag. I undantagsfall och om väl motiverat och vid behov så kan man acceptera längre än 6 månader (upp till ca 1 år).

Tabell 3 översikt procedur och tidtabeller.

Procedur	Utredningstid (dagar)	Beslut (dagar)	Antal rundor*	Clock-stop
Nationell	210	-	3	2
MRP	90**	30	1	-
DCP	210	30	2	1
CP	210	60	3	2
CP Accelererad	150	< 60	3	1

\* Om alla frågor är besvarade kan proceduren avslutas tidigare. \*\*Bygger på att ett nationellt godkännande först erhållit i ett EU-land.

### Säräkemedel

EMAs program för säräkemedel (sk orphan drugs) ger företag och akademi tillgång till olika incitament och är ett viktigt verktyg inom EU för att stimulera utveckling av läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar dvs. sjukdomar som är livshotande, allvarligt funktionsnedsättande och förekommer hos högst 5/10 000 individer inom EU samt där det saknas tillfredställande behandling. För säräkemedel blir de kliniska studierna som ligger till grund för godkännandet naturligt mindre omfattande. Det är färre patienter inkluderade i studien eftersom det är färre patienter som har sjukdomen jämfört med mer "vanliga" sjukdomar. Underlaget måste alltid vara tillräckligt stort för att en effekt och säkerhetsbedömning ska kunna göras. Nyttar-risk bedömningen är en väsentlig del av utredningen, och en positiv nytta-risk balans är det ett godkännande baseras på. En separat ansökningsprocess bedömer om ett läkemedel uppfyller de kriterier som krävs för klassning som ett säräkemedel.

Statistik: Av de läkemedels som godkändes 2016 och 2015 var ca 19% säräkemedel, se tabell 2.

### *Vilkorat godkännande*

Försäljningstillstånd med villkor är en av möjligheterna i EU att ge patienterna tidig tillgång till nya läkemedel. Det gäller för allvarliga sjukdomar där det finns ett stort medicinsikt behov (specifika kriterier ska vara uppfyllda). Ett vilkorat godkännande kan vara baserat mindre fullständiga kliniska data än vad som normalt krävs. För att fullständiga data ska erhållas är godkännande kopplat särskilda krav och villkor efter godkännandet som måste uppfyllas. Vetenskapliga data som påvisar en positiv nytta-risk balans ska finnas för rekommendation om godkännande, men nytta-risk bedömningen behöver konfirmeras med mer kliniska data. Fördelen för folkhälsan att läkemedlet omedelbart finns tillgänglig på marknaden uppväger risken för att ytterligare uppgifter fortfarande krävs för att bekräfta nytta-risk bedömning.

Syftet med villkoren är alltså att fullständiga kliniska data ska uppnås och att produkten då switchar över till ett vanligt godkännande. Nya data ska skickas in årligen (förnyelse) och KOM beslutar om fortsatt försäljningstillstånd. Tiden för att uppnå ett fullgodkännande varierar från 1-7år.

*Statistik;* Andelen läkemedel som erhöll ett vilkorat godkännande under 2013-2016 är 5-10%, se tabell 2.

### *Godkännande under exceptionella omständigheter*

Försäljningstillstånd under exceptionella omständigheter gör det möjligt för patienter att få tillgång till läkemedel som inte kan godkännas enligt ett standard förfarande, eftersom fullständiga uppgifter inte kan erhållas, antingen för att den sjukdom de riktar sig till är för sällsynt, insamlingen av fullständiga uppgifter om läkemedlets effektivitet och säkerhet skulle vara oetiskt, eller det finns luckor i den vetenskapliga kunskapen. Dessa läkemedel omfattas av särskilda förpliktelser, villkor och övervakning efter godkännandet. Exempel på läkemedels som godkänts är smittkoppsvaccin

*Statistik:* Andelen läkemedel som godkänns under exceptionella omständigheter har inte nämnvärt ökat under 2013-2017 varierar mellan 1-3%.