ROUTEKAART GENEESMIDDELONTWIKKELING

Hoe verloopt geneesmiddelontwikkeling in het algemeen?

Preklinisch

In vitro onderzoek
Proof of concept, toxicologie

In vivo onderzoek
Proof of concept in diermodel (indien mogelijk), farmacokinetiek, toxicologie

Centrale Commissie Dierproeven (CCD)

Klinisch

Vroege fase
Klinisch onderzoek met gezonde vrijwilligers en/of kleine groepen patiënten (farmacokinetiek, veiligheid, farmacodynamiek)

METC/ CCMO

Late fase
Klinisch onderzoek bij grotere populatie patiënten (bewijs effectiviteit en veiligheid)

METC/ CCMO

Toegang

Registratie van geneesmiddel
Beoordeling voordelen/risico afweging door EMA (Europees) of CBG (Nederland). Bij positief besluit wordt een handelsvergunning afgegeven.

EMA/CBG

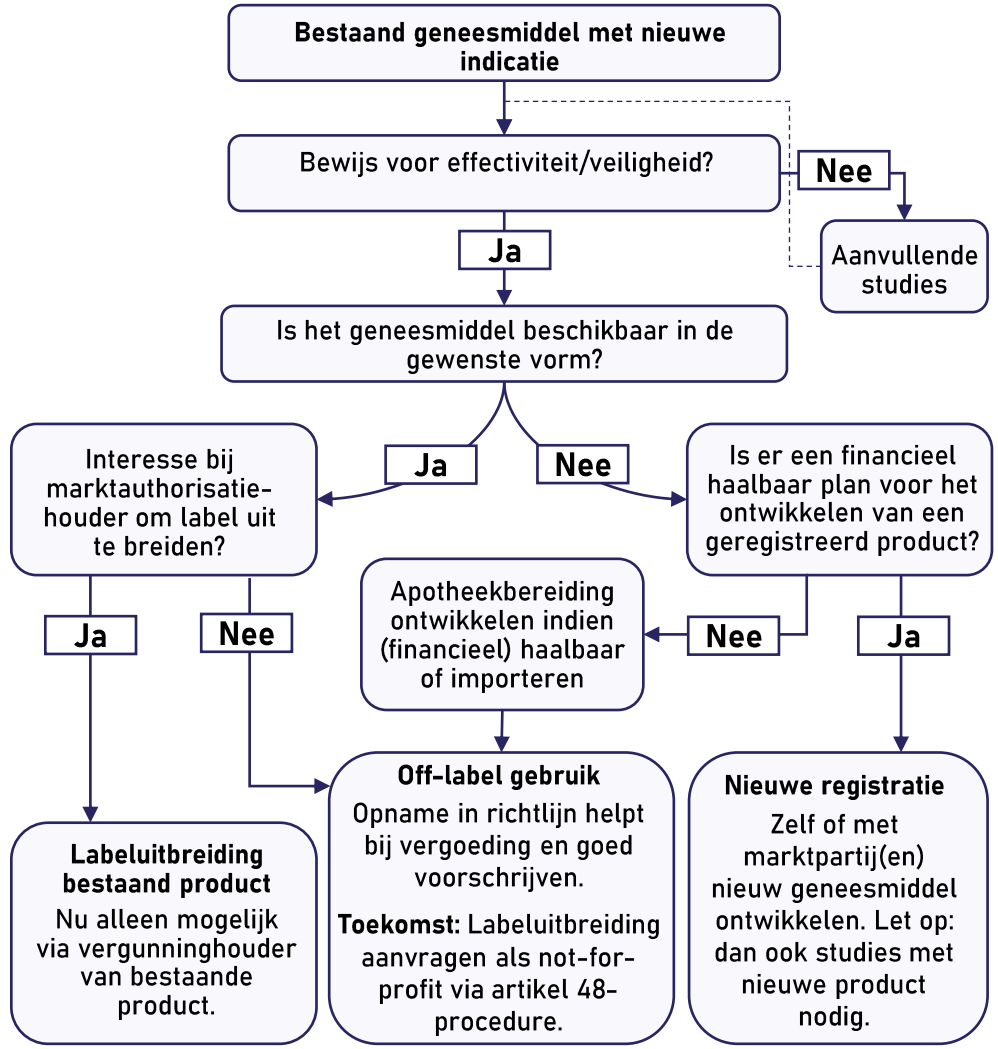
Vergoeding van geneesmiddel
Beoordeling effectiviteit (stand van wetenschap en praktijk, SW&P), noodzakelijkheid, kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid

CieBAG / ZIN / VWS

RARE-NL | HUB FOR RARE DISEASES AND DRUG REPURPOSING

ROUTEKAART REPURPOSING

Stroomschema voor routes naar duurzame patiënttoegang bij drug repurposing



RARE-NL | HUB FOR RARE DISEASES AND DRUG REPURPOSING

BEGRIPPENLIJST

Geneesmiddelen en ontwikkeling

Apotheekbereiding: Een geneesmiddel dat door een apotheker wordt bereid voor een individuele patiënt.

Collegiaal doorleveren: Speciale beleidsregel waaronder een apotheekbereiding mag worden geleverd aan een andere apotheek of zorginstelling voor terhandstelling aan patiënten.

Farmacodynamiek (PD): Onderzoek hoe een geneesmiddel in het lichaam werkt en de relatie tussen concentratie en effect.

Farmacokinetiek (PK): Onderzoek naar wat het lichaam met een geneesmiddel doet: opname, verdeling, metabolisme en uitscheiding.

In vitro: Onderzoek uitgevoerd buiten een levend organisme, bijvoorbeeld met cellen of weefsels, om biologische effecten, werkzaamheid of toxiciteit te onderzoeken.

In vivo: Onderzoek uitgevoerd in een levend organisme, bijvoorbeeld dieren of mensen, om effecten, werkzaamheid en veiligheid te beoordelen.

Toxicologie: Onderzoek naar de schadelijke effecten van geneesmiddelen en stoffen en de relatie tussen blootstelling en risico.

Good Manufacturing Practice (GMP): Internationale standaard voor geneesmiddel-productie in farmaceutische fabrieken over o.a. hygiene, kwaliteitscontrole etc.

Good Clinical Practice (GCP): Internationale standaard voor het verantwoord uitvoeren van klinisch onderzoek en het waarborgen van de veiligheid van deelnemers en betrouwbaarheid van resultaten

Vergoeding

Health Technology Assessment (HTA): Het beoordelen van (kosten en) effecten van gezondheidstechnologieën (bijvoorbeeld geneesmiddelen).

Extramurale farmacie: Verstrekking van geneesmiddelen door een apotheek, voor gebruik buiten een zorginstelling. Vergoeding vanuit Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS), beoordeling door Zorginstituut.

Intramurale farmacie: Verstrekking van geneesmiddelen via een ziekenhuis of verpleeghuis, voor gebruik binnen de zorginstelling. Beoordeling vergoeding door CieBAG wanneer middel niet in de sluis wordt geplaatst.

Stand van wetenschap en praktijk (SW&P): Criterium dat wordt gebruikt om te beoordelen of de zorg relevante meerwaarde heeft ten opzichte van de standaard behandeling op basis van de wetenschap, en of er voldoende vertrouwen is dat deze meerwaarde in de praktijk daadwerkelijk optreedt.

Add-on geneesmiddel: Intramuraal duur geneesmiddel dat bovenop de diagnose-behandelcombinatie (dbc) mag worden gedeclareerd. Kost meer dan €1.000 per patiënt per jaar.

Organisaties

College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG): Agentschap dat adviseert en oordeelt over het afgeven van handelsvergunningen voor geneesmiddelen in Nederland.

European Medicines Agency (EMA): Europees agentschap dat adviseert en oordeelt over het afgeven van handelsvergunningen voor geneesmiddelen in de Europese Unie.

Zorginstituut Nederland (ZIN): HTA-organisatie die het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport adviseert over vergoeding van (nieuwe) geneesmiddelen

Zorgverzekeraars Nederland (ZN): Brancheorganisatie voor alle zorgverzekeraars van Nederland

Commissie Beoordeling Add on Geneesmiddelen (CieBAG): beoordeelt namens ZN of een nieuw intramuraal add-on geneesmiddel voldoet aan het wettelijke criterium voor vergoeding “stand van de wetenschap en praktijk”.

Businesscase

Businesscase: Onderbouwing van de financiële haalbaarheid van een project op basis van onder andere investeringen, risico's en opbrengsten.

Data-exclusiviteit: Periode waarin de (pre-)klinische gegevens van een geregistreerd geneesmiddel beschermd zijn en niet door andere partijen mogen worden gebruikt voor het verkrijgen van een handelsvergunning

Intellectual property (IP): Juridische bescherming van intellectuele eigendom, zoals patenten en marktexclusiviteit rondom een geneesmiddel of technologie.

Uitlicenseren: Het verstrekken van rechten aan een andere partij om een geneesmiddel of technologie verder te ontwikkelen, produceren of commercialiseren.

Indicatie geneesmiddel

Handelsvergunning (Marketing Authorisation): Officiële toestemming van een bevoegde geneesmiddelenautoriteit (zoals de EMA of het CBG) om een geneesmiddel op de markt te brengen.

Summary of Product Characteristics (SmPC): Officiële productinformatie van een geneesmiddel met informatie over indicaties, dosering, veiligheid, bijwerkingen en farmacologische eigenschappen.

Geregistreerde indicatie: De aandoening waarvoor een geneesmiddel officieel is goedgekeurd en beschreven in de SmPC. Soms wordt ook populatie specifiek beschreven (bijvoorbeeld leeftijd, genmutatie of na falen andere therapieën). Dit is de indicatie waarvoor de handelsvergunning geldt.

Off-label: Toepassing van een geneesmiddel op een andere manier (bijvoorbeeld een andere indicatie) dan waar officieel de handelsvergunning voor is afgegeven.

On-label: Toepassing van een geneesmiddel binnen waarvoor de handelsvergunning is afgegeven.

Artikel 48-procedure: Procedure in de aanstaande Europese geneesmiddelen-wetgeving waarmee in de toekomst niet-commerciële partijen de EMA kunnen verzoeken om beschikbare wetenschappelijke gegevens over een geneesmiddel te beoordelen. Na een positieve beoordeling wordt de nieuwe indicatie aan een bestaande handelvergunning toegevoegd.