

ANTRAG AUF GENEHMIGUNG
von Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMP)
nach § 4 b Abs. 3 i.V.m. § 21a Abs. 2-8 des Arzneimittelgesetzes (AMG)

Modul 5

Klinische Daten

Edition 2011 – PEI

Bezeichnung des ATMP:

Antragsteller:

PEI-Bearbeitungsnummer:

Modul 5.1 Inhaltsverzeichnis

- 5.1 Inhaltsverzeichnis
- 5.2 Klinische Angaben zur Wirksamkeit und Sicherheit des ATMP
 - 5.2.1 Wirksamkeit
 - 5.2.2 Sicherheit
- 5.3 Nutzen-Risiko-Analyse
- 5.4 Literatur und Referenzen
- 5.5 Anhang

Modul 5.2 Klinische Angaben zur Wirksamkeit und Sicherheit des ATMP

Vorbemerkung

Die klinischen Angaben können aus nach wissenschaftlichen Methoden aufbereitetem medizinischem Erkenntnismaterial bestehen, wie z.B. Studien des Herstellers, Publikationen oder nachträglichen Bewertungen klinischer Ergebnisse .

Die klinischen Ergebnisse zur Charakterisierung des ATMP sollten soweit verfügbar bzw. für das entsprechende Produkt zutreffend in der hier dargestellten Reihenfolge dargestellt werden. Falls einer der vorgegebenen Gliederungspunkte als nicht zutreffend erachtet wird oder keine Daten vorliegen, ist dies entsprechend zu vermerken.

Die nachfolgenden Verweise auf Leitfäden können als Hilfestellung bei der Erstellung des Antrags genutzt werden. Allerdings ist dabei zu beachten, dass sich, abgesehen von der 3. Bekanntmachung zur klinischen Prüfung von Arzneimitteln am Menschen, die Darstellungen auf die Zulassung eines Arzneimittels auf Basis der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 und Richtlinie 2001/83/EG beziehen.

3. Bekanntmachung zur klinischen Prüfung von Arzneimitteln am Menschen

(http://www2.bfarm.de/bekanntmachungen/3bk_kp.pdf)

Gentherapie Arzneimittel:

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000410.jsp&murl=menus/regulations/regulations.jsp&mid=WC0b01ac058002958d

Zellbasierte ATMP:

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000405.jsp&murl=menus/regulations/regulations.jsp&mid=WC0b01ac058002958a

Der klinische Teil soll eine Zusammenfassung sowie eine detaillierte Darstellung aller relevanten klinischen Studien enthalten (Studienberichte sind im Anhang anzufügen). Veröffentlichungen oder Daten aus klinischen Untersuchungen / Anwendungsbeobachtungen des ATMP sollen berücksichtigt werden. Ferner sind alle verfügbaren Daten anzugeben, die darüber hinaus für die Evaluation der Wirksamkeit und Sicherheit des zu bewertenden ATMP relevant sein könnten.

Darüber hinaus sollte begründet werden, warum die Patienten mit zugelassenen Arzneimitteln oder anderen therapeutischen Interventionen nicht adäquat behandelt werden können.

5.2.1 Wirksamkeit

Hier sind die Ergebnisse aus klinischen Anwendungen/Studien zur Wirksamkeit zusammenzufassen, mit besonderer Berücksichtigung:

- der Grunderkrankung der Patienten, genetischer Besonderheiten (z.B. HLA-Genotyp), Anzahl der behandelten Patienten,
- der Dosis und des Dosierungsschemas (inkl. Begleittherapie), Dauer der Behandlung,

- der Wirkung (zeitlicher Verlauf, Mechanismus, untersuchte Endpunkte (Surrogat-Marker, immunologische Parameter), Reversibilität der Wirkung),
- der Biodistribution und Ausscheidung (Shedding).

5.2.2 Sicherheit

Hier sollten unerwünschte Arzneimittelwirkungen (auch Verdachtsfälle) aus klinischen Anwendungen/Studien tabellarisch (*Summary Tabulations*) nach Organsystemen (*System Organ Classes*) unter Angabe von beurteilungsrelevanten Patientendaten gelistet werden (*Line Listing*). Ferner sollte das Risiko des Auftretens von Tumoren, Autoimmunität und Toleranz abgeschätzt werden und spezifische Vorsichtsmaßnahmen angegeben werden.

5.3 Nutzen-Risiko-Analyse

Die Nutzen-Risiko-Analyse der geplanten Behandlung (inkl. Begleitbehandlung (z.B. Operation, Medikation) -medikation) soll die Schwere der Erkrankung einschließlich potentieller Spätfolgen sowie andere therapeutische Optionen zur Behandlung der Erkrankung berücksichtigen. Falls keine eigenen klinischen Anwendungsdaten vorliegen, kann die Analyse auf Basis von Literaturdaten (mit Quellenangabe) erfolgen.

5.4 Literatur und Referenzen

Kopien von Dokumenten einschließlich veröffentlichter Artikel, auf die verwiesen wird, Protokolle offizieller Beratungen zu dem ATMP oder andere relevante (öffentlich nicht zugängliche) Leitfäden sollen hier eingearbeitet werden.

5.5 Anhang

- **Mustertabelle für die Präsentation der klinischen Studien/Daten (für jede Studie bitte eine Tabelle ausfüllen)**

Kurztitel	
Titel	
Eudra-CT (falls verfügbar)	
Anzahl der Studienzentren	
Studienstatus	<input type="checkbox"/> abgeschlossen <input type="checkbox"/> abgebrochen <input type="checkbox"/> offen
Studienstart	
Studiendesign / Kontrolle	
Studien- (ATMP) & Kontrollmedikation (Dosierung, Schema)	
Studienziel	
Therapiearme	
Dauer	
Studienpopulation	
Diagnose	
Einschlusskriterien	
Primäre Endpunkte	
Ergebnisse	
Kurzgefasste Bewertung	

- **Studienberichte (Abschluss- oder Zwischenberichte)**
- **Anwendungsprotokoll**