

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

Modul 0

Einstufung des Arzneimittels als Arzneimittel für neuartige Therapien
unter Berücksichtigung der Vorgaben zur Genehmigung
nach §4b Arzneimittelgesetz

Bezeichnung des ATMP:

Antragsteller:

PEI-Bearbeitungsnummer:

Hinweise:

Die Antragsunterlagen sind an folgende Adresse zu senden:

Paul-Ehrlich-Institut
Paul-Ehrlich-Str. 51-59
63225 Langen
GERMANY

E-mail: AMG-EV@pei.de

Fax: +49 6103 77 1234

Kosten

Die für die Genehmigung von ATMP nach §4b AMG anfallenden Gebühren können Sie in Kürze der Kostenverordnung für Amtshandlungen des Paul-Ehrlich-Instituts nach dem Arzneimittelgesetz (PEI-KostVO) entnehmen.

Modul 0:

1. Ist das Produkt ein Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP)?

Das Produkt ist ein ATMP, wenn es entweder ein Gentherapeutikum, ein somatisches Zelltherapeutikum oder ein biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt zur Anwendung im oder am Menschen ist.

1.1 Ist das Produkt ein biologisches Arzneimittel zur Anwendung im oder am Menschen?

Ja
Nein

1.2 Ist das Produkt ein Gentherapeutikum?

(zutreffend, wenn 1.1 und alle unter 1.2 stehenden Fragen mit „Ja“ beantwortet werden können)

Hinweis: Impfstoffe, die zur Vorbeugung oder Behandlung von Infektionskrankheiten bestimmt sind, sind keine Gentherapeutika.

Enthält das Produkt einen Wirkstoff, der eine rekombinante Nukleinsäure enthält oder daraus besteht, der im Menschen verwendet oder ihm verabreicht wird, um eine Nukleinsäuresequenz zu regulieren, zu reparieren, zu ersetzen, hinzuzufügen oder zu entfernen?

Ja
Nein

Steht seine therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die es enthält, oder mit dem Produkt, das aus der Expression dieser Sequenz resultiert?

Ja
Nein

Ergänzende Angaben:

WENN JA, WEITER UNTER PUNKT 2.

1.3 Ist das Produkt ein biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt?

(zutreffend, wenn 1.1 und alle unter 1.3 stehenden Fragen mit „Ja“ beantwortet werden können)

Besteht das Produkt aus Zellen oder Geweben, oder enthält es solche und wurden diese substanziell¹ bearbeitet, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte Regeneration, Wiederherstellung oder den Ersatz relevant sind, erzielt werden?

oder

Sollen die Zellen oder Gewebe im Empfänger im Wesentlichen *nicht* der(n)selben Funktion(en) dienen wie im Spender oder enthält das Produkt derartige Zellen oder Gewebe (sog. „non-homologous use“)?

Ja
Nein

Werden dem Produkt Eigenschaften zur Regeneration, Wiederherstellung oder zum Ersatz menschlichen Gewebes zugeschrieben oder wird es zu diesem Zweck verwendet oder Menschen verabreicht?

Ja
Nein

Enthält das Produkt vitale menschliche oder tierische Zellen und/oder Gewebe?
oder

Enthält das Produkt zwar *keine* vitalen Zellen oder Gewebe, wirkt jedoch hauptsächlich pharmakologisch, immunologisch oder metabolisch?

Ja
Nein

Ergänzende Angaben:

WENN JA, WEITER UNTER PUNKT 2.

¹ Nicht als substanzielle Bearbeitungsverfahren gelten insbesondere folgende Bearbeitungsverfahren: Schneiden, Zerreiben, Formen, Zentrifugieren, Einlegen in antibiotische oder antimikrobielle Lösungen, Sterilisieren, Bestrahlen, Separieren, Konzentrieren oder Reinigen von Zellen, Filtern, Lyophilisieren, Einfrieren, Kryopräservieren, Verglasen

1.4 Ist das Produkt ein somatisches Zelltherapeutikum?

(zutreffend, wenn 1.1 und alle unter 1.4 stehenden Fragen mit „Ja“ beantwortet werden können)

Besteht das Produkt aus Zellen oder Geweben, die substanzuell² bearbeitet wurden, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte klinische Verwendung relevant sind, verändert wurden?

oder

Sind diese Zellen oder Gewebe dazu bestimmt, im Empfänger im Wesentlichen nicht dieselbe(n) Funktion(en) auszuüben wie im Spender (sog. „non-homologous use“)?

Ja
Nein

Werden dem Produkt Eigenschaften zur Behandlung, Vorbeugung oder Diagnose von Krankheiten durch pharmakologische, immunologische oder metabolische Wirkungen der enthaltenen Zellen oder Gewebe zugeschrieben und wird es zu diesem Zweck im oder am Menschen verwendet oder ihm verabreicht?

Ja
Nein

Ergänzende Angaben:

WENN JA, WEITER UNTER PUNKT 2.

² Nicht als substanzuelle Bearbeitungsverfahren gelten insbesondere folgende Bearbeitungsverfahren: Schneiden, Zerreiben, Formen, Zentrifugieren, Einlegen in antibiotische oder antimikrobielle Lösungen, Sterilisieren, Bestrahlen, Separieren, Konzentrieren oder Reinigen von Zellen, Filtern, Lyophilisieren, Einfrieren, Kryopräservieren, Verglasen

2. Wird das Produkt in Deutschland verschrieben, hergestellt und angewandt?

Ja
Nein

3. Wird das Produkt als *individuelle Zubereitung* für *einen einzelnen Patienten* ärztlich verschrieben?

Ja
Nein

4. Wird das Produkt *nach spezifischen Qualitätsnormen* hergestellt?

Ja
Nein

5. Wird das Produkt nicht *routinemäßig* hergestellt?

Trifft zu, wenn:

- das Produkt in geringem Umfang hergestellt wird

und

- im Herstellungsverfahren medizinisch begründete Abweichungen für einen einzelnen Patienten vorgenommen werden

Ja
Nein

oder

- das Produkt noch nicht in ausreichender Anzahl hergestellt worden ist und deshalb notwendige Erkenntnisse für die umfassende Produktbeurteilung noch nicht vorliegen.

Ja
Nein

oder

- aufgrund sonstiger Gründe, aus denen das Produkt nicht routinemäßig hergestellt wird

Ja
Nein

bitte spezifizieren:

Ergänzende Angaben (insbesondere zu Umfang und Häufigkeit der Herstellung)

6. Wird das Produkt in einer *spezialisierten Einrichtung der Krankenversorgung angewandt?*

Ja
Nein

7. Wird das Produkt unter der *fachlichen Verantwortung eines Arztes* angewandt?

Ja
Nein

Ergänzende Angaben:

8. Wurde das Produkt vor dem 24. Juli 2009 befügt in den Verkehr gebracht und wurde bis zum 1.1.2010 eine Herstellungserlaubnis beantragt?

Ja
Nein

*

Begriffsdefinitionen

I. Begriffsbestimmung „Biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt“

gemäß Art. 2 Abs. 1 der Verordnung über Arzneimittel für neuartige Therapien und zur Änderung der Richtlinie 2001/83/EG und der Verordnung (EG) Nr. 726/2004

(...)

b) Ein „biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt“ ist ein Produkt,— das biotechnologisch bearbeitete Zellen oder Gewebe enthält oder aus ihnen besteht und

— dem Eigenschaften zur Regeneration, Wiederherstellung oder zum Ersatz menschlichen Gewebes zugeschrieben werden oder das zu diesem Zweck verwendet oder Menschen verabreicht wird.

Ein biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt kann Zellen oder Gewebe menschlichen oder tierischen Ursprungs enthalten. Die Zellen oder Gewebe können lebensfähig oder nicht lebensfähig sein. Es kann außerdem weitere Stoffe enthalten wie Zellprodukte, Biomoleküle, Biomaterial, chemische Stoffe und Zellträger wie Gerüst- oder Bindesubstanzen.

Produkte, die ausschließlich nicht lebensfähige menschliche oder tierische Zellen und/oder Gewebe enthalten oder aus solchen bestehen und die keine lebensfähigen Zellen oder Gewebe enthalten und nicht hauptsächlich pharmakologisch, immunologisch oder metabolisch wirken, fallen nicht unter diese Begriffsbestimmung.

c) Zellen oder Gewebe gelten als „biotechnologisch bearbeitet“, wenn sie wenigstens eine der folgenden Bedingungen erfüllen:

— Die Zellen oder Gewebe wurden substantziell bearbeitet, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte Regeneration, Wiederherstellung oder den Ersatz relevant sind, erzielt werden. Nicht als substantzielle Bearbeitungsverfahren gelten insbesondere die in Anhang I aufgeführten Bearbeitungsverfahren.

— Die Zellen oder Gewebe sind nicht dazu bestimmt, im Empfänger im Wesentlichen dieselbe(n) Funktion(en) auszuüben wie im Spender. (...)

Anhang I

Bearbeitungsverfahren, auf die in Artikel 2 Absatz 1 Buchstabe c erster Gedankenstrich verwiesen wird

- Schneiden
- Zerreiben
- Formen
- Zentrifugieren
- Einlegen in antibiotische oder antimikrobielle Lösungen
- Sterilisieren
- Bestrahlen
- Separieren, Konzentrieren oder Reinigen von Zellen
- Filtern
- Lyophilisieren
- Einfrieren
- Kryopräservieren
- Verglasen

II. Begriffsbestimmungen „Gentherapeutikum“ und „somatisches Zelltherapeutikum“

gemäß Teil IV des Anhangs der Richtlinie 2001/83/EG des europäischen Parlaments und des Rates vom 6. November 2001 zur Schaffung eines Gemeinschaftskodexes für Humanarzneimittel (...)

2.1. Gentherapeutikum

Unter einem Gentherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel zu verstehen, das folgende Merkmale aufweist:

- a) Es enthält einen Wirkstoff, der eine rekombinante Nukleinsäure enthält oder daraus besteht, der im Menschen verwendet oder ihm verabreicht wird, um eine Nukleinsäuresequenz zu regulieren, zu reparieren, zu ersetzen, hinzuzufügen oder zu entfernen.
- b) Seine therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung steht in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die es enthält, oder mit dem Produkt, das aus der Expression dieser Sequenz resultiert.
Impfstoffe gegen Infektionskrankheiten sind keine Gentherapeutika.

2.2. Somatisches Zelltherapeutikum

Unter einem somatischen Zelltherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel zu verstehen, das folgende Merkmale aufweist:

- a) Es besteht aus Zellen oder Geweben, die substanziiell bearbeitet wurden, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte klinische Verwendung relevant sind, verändert wurden, oder aus Zellen oder Geweben, die im Empfänger im Wesentlichen nicht denselbe(n) Funktion(en) dienen sollen wie im Spender, oder es enthält derartige Zellen oder Gewebe.
- b) Ihm werden Eigenschaften zur Behandlung, Vorbeugung oder Diagnose von Krankheiten durch pharmakologische, immunologische oder metabolische Wirkungen der enthaltenen Zellen oder Gewebe zugeschrieben und es wird zu diesem Zweck im Menschen verwendet oder ihm verabreicht.

Die in Anhang I der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 aufgeführten Bearbeitungsverfahren gelten nicht als substanziielle Bearbeitung im Sinne von Buchstabe a dieser Definition.