

Nästa talare

Dag Larsson

Senior sakkunnig policy,
Läkemedelsindustriföreningen

Mellan produkt och patient?



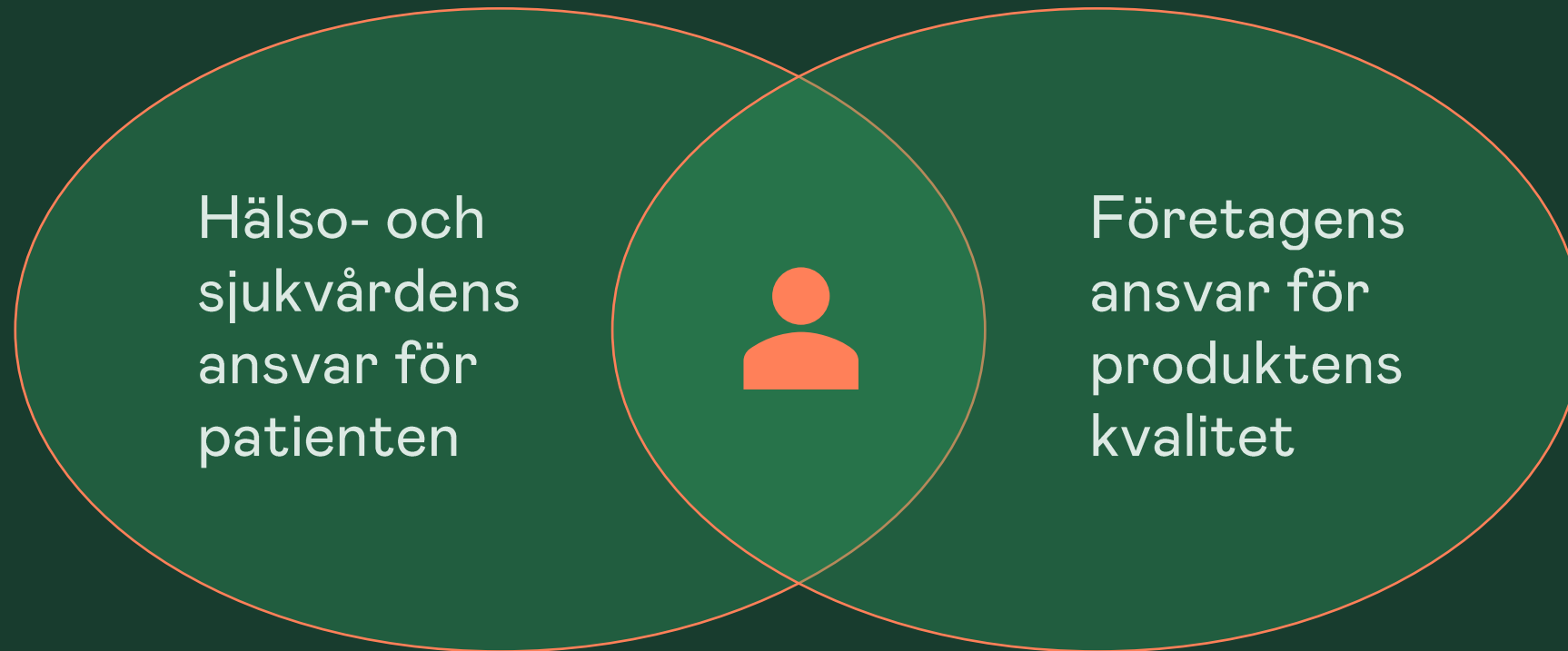
De forskande
läkemedelsföretagen

Mellan produkt och patient?

Dag Larsson, senior sakkunnig policy

2022-11-08

Med ATMP följer inbyggd samverkan



Läkemedelslagstiftningen syftar till att skydda patienten
– risk/nytta-värdering och produktens kvalitet

Some of these therapies are expected to reach the market in short- to mid-term



Novel CNS therapies

Remyelinating therapies

Hold potential not only to prevent further myelin damage caused by CNS disorders (Multiple Sclerosis, PD), but also reverse disease effects

Psychoplastogens

New technologies bring rapid improvement to patients with ADHD and depression; novel drugs for schizophrenia in the pipeline



Novel technologies in Oncology

Tumour agnostic Tx

First therapies approved present challenges for HTAs to assess added benefit versus SoC linked to a tumour location

CAR-Ts/NKs for solid tumours

CAR-Ts have brought improved treatment outcomes to patients with blood cancers and now are further investigated in solid tumours (e.g. ovarian, GI)

BiTEs for solid tumors

BiTE platform provides significant advantages over current innovative CAR-T therapies, as off-the-shelf products with high safety profile



Gene & cell therapies

Gene delivery systems (Transposon elements, AAV, LNP)

Used across most gene technologies as delivery vehicles for genetic cargo

Gene editing technologies (CRISPR-CAS9, ZFNs, TALENs)

Most advanced genetic editing includes CRISPR-cas9, being evaluated across rare diseases & oncology

Gene transfer therapies

Introduction of an additional gene into specific cells to compensate for abnormal genes or to make a beneficial protein

Note: Short- to mid-term = up to 3-5 years
IQVIA | EFPIA Pipeline Innovation Review 2022

Abbreviations - [Link to Glossary](#)

New immunotherapies



mRNA vaccines

may be leveraged to boost immunity against cancer, infectious diseases, and more

Novel immunotherapies

Significant research is investigating 21 new immune checkpoints and inhibitory targets across solid tumors and hematologic malignancies

New DMT and curative Tx



Curative Tx for infectious disease

Currently no curative therapy is available for chronic HepB and HIV infections; several investigative Tx are in the pipeline with high degree of novelty and diversity

Disease modifying therapies

New DMT approved for Alzheimer's disease

Other



Senolytics

Telehealthcare and wearable medical devices driving growth of this market

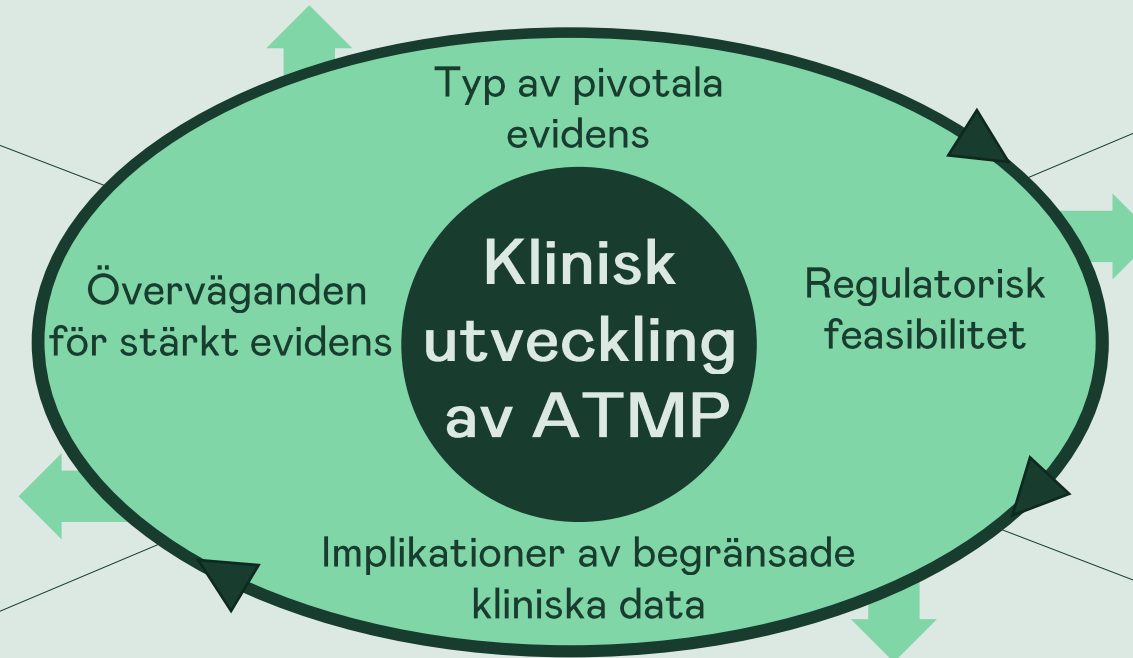
Gut Microbiome

Recent research has delineated the role of the gut microbiome in the pathogenesis of various common disorders, including obesity, type 2 diabetes, non-alcoholic liver, cardiovascular disease, and mental health disorders

Att klara både regulatoriskt godkännande och HTA

- ✓ Få patienter, 'open label', enarmade utan kontroll eller enbart med historisk kontroll
- ✓ Effekt baserat på surrogatmarkörer eller enstaka variabel

- ✓ Randomiserade kliniska studier
- ✓ Innovativ klinisk studiedesign
- ✓ Robusta historiska data
- ✓ Bra kvalitetsregisterdata
- ✓ Standardisering kring kvalitet och kliniska studier för ATMP
- ✓ Metodologiska/kliniska riktlinjer
- ✓ Flexibilitet och effektivitet i interaktioner mellan företag och myndigheter
- ✓ Ökad och delad kunskap

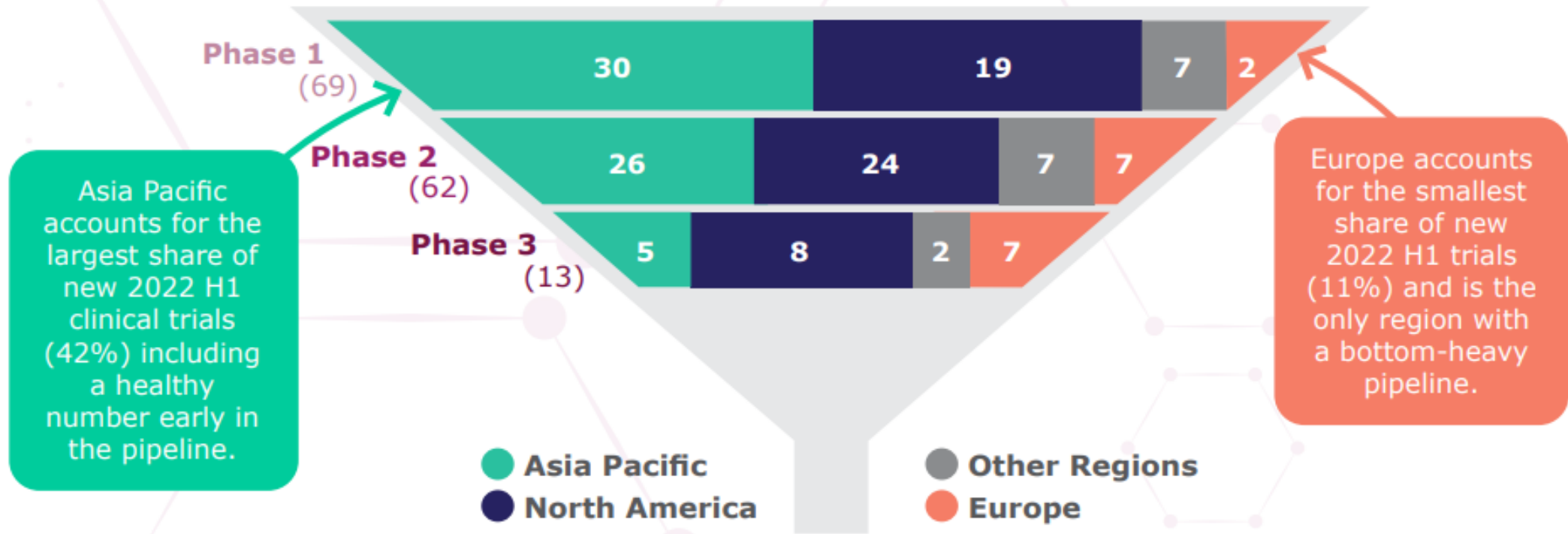


- ✓ Typ av produkt
- ✓ Säriläkemedel
- ✓ Medicinskt behov
- ✓ Sjukdomens svårighetsgrad
- ✓ Behandlingslinje
- ✓ Utan behandlingsalternativ
- ✓ Heterogenitet i population
- ✓ Pediatrisk population

- ✓ Osäkerhet i risk/nytta-balans
- ✓ Tidigt godkännande, begränsad evidens
- ✓ Överskattning av effekt från historiska data
- ✓ Långvariga och omfattande uppföljningsstudier
- ✓ Komplexitet i hälsoekonomisk utvärdering
- ✓ Avsaknad av 'reimbursement' i EU-länder

Asia Pacific takes the lead; Europe pipeline slows to a trickle

144 New Clinical Trials in 2022 H1



ATMP's approved in EU

October 17, 2022 – source: ema.europa.eu and fass.se



| | ATMP | Originator company | Partner | Indication | EU MA | Status | SE avail: Sep 2022 |
|----|--------------|------------------------|------------------|-----------------------------------------|-----------|--------------------|--------------------|
| 25 | Ebvallo | Atara Biopharmaceutics | Pierre Fabre | EBV+ PTLID | PO Oct 22 | Exceptional circum | Not available |
| 24 | Roctavian | BioMarin | | Hemophila A | Aug 2022 | Conditional | Not available |
| 23 | Carvykti | Legend Biotech | Janssen | Multiple myeloma | Mar 2022 | Conditional | Not available |
| 22 | Breyanzi | Juno Therapeutics | Celgene/BMS | B-cell lymphoma (DLBCL) + FL 3B | Apr 2022 | Conditional | Not available |
| 21 | Abecma | Bluebird bio | Celgene/BMS | Multiple myeloma | Aug 2021 | Conditional | Not available |
| 20 | Skysona | Bluebird bio | | Cerebral adrenoleukodystrophy (CALD) | Jul 2021 | Discontinued 2021 | |
| 19 | Tecarus | Kite | Gilead | Lymphoma, mantle cell | Dec 202 | Conditional | Not available |
| 18 | Libmeldy | Orchard Therapeutics | GSK | Metachromatic leukodystrophy (MLD) | Dec 2020 | Approved | Not available |
| 17 | Zolgensma | AveXis | Novartis | Spinal muscular atrophy | May 2020 | Conditional | Available |
| 16 | Zynteglo | Bluebird bio | | Beta-thalassemia | Jun 2019 | Contitional | Pulled back |
| 15 | Luxturna | Spark Therapeutics | Novartis | Retinal dystropy | Mar 2019 | Approved | Available |
| 14 | Yescarta | Kite Pharma | Gilead | B-cell lymphoma | Aug 2018 | Approved | Available |
| 13 | Kymriah | Novartis | | B-cell ALL and lymphoma | Aug 2018 | Approved | Available |
| 12 | Zalmoxis | | | GVHD | Aug 2016 | Withdrawn | |
| 11 | Alofisel | TiGenix | Takeda | Perianal fistulas in Chron's | Mar 2016 | Approved | Not available |
| 10 | Spherox | Co.don | | Cartilage defects in knee | Mar 2016 | Approved | Not available |
| 9 | Zalmoxis | MolMed SpA | | Gene modified ASCT for blood cancer | Jun 2016 | Discontinued | |
| 8 | Strimvelis | Orchard Therapeutics | (GSK - returned) | ADA SCID | Apr 2016 | Approved | Not available |
| 7 | Imlygic | BioVex | Amgen | Melanoma | Dec 2015 | Approved | Available |
| 6 | Holoclar | Holostem Terapie | Chiesi | Limbal stem cell deficiency in the eyes | Mar 2015 | Conditional | Not available |
| 5 | Provenge | Dendreon | | Metastatic prostate cancer | Oct 2013 | Discontinued | |
| 4 | MACI | Vericel | | Cartilage defects in the knee | Jul 2013 | Discontinued | |
| 3 | Glybera | uniQure | | Lipoprotein lipase deficiency | Nov 2013 | Discontinued | |
| 2 | Provenge | Dendreon | | Prostate cancer – cell therapy | Sep 2013 | Withdrawn | |
| 1 | Condroselect | TiGenix | | Cartilage defects | Nov 2009 | Discontinued | |

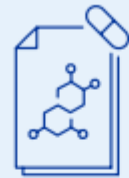
54 helt nya läkemedel godkändes 2021 i Europa

+36 procent jämfört med året innan



92

Positive opinions



54

New active substances



5

Negative opinions



7

Withdrawn applications

PRIME
6

Advanced therapy medicinal products
2

Orphan medicines*
19

Accelerated assessments
3

Conditional marketing authorisations
13

Approvals under exceptional circumstances
4

Biosimilars
7

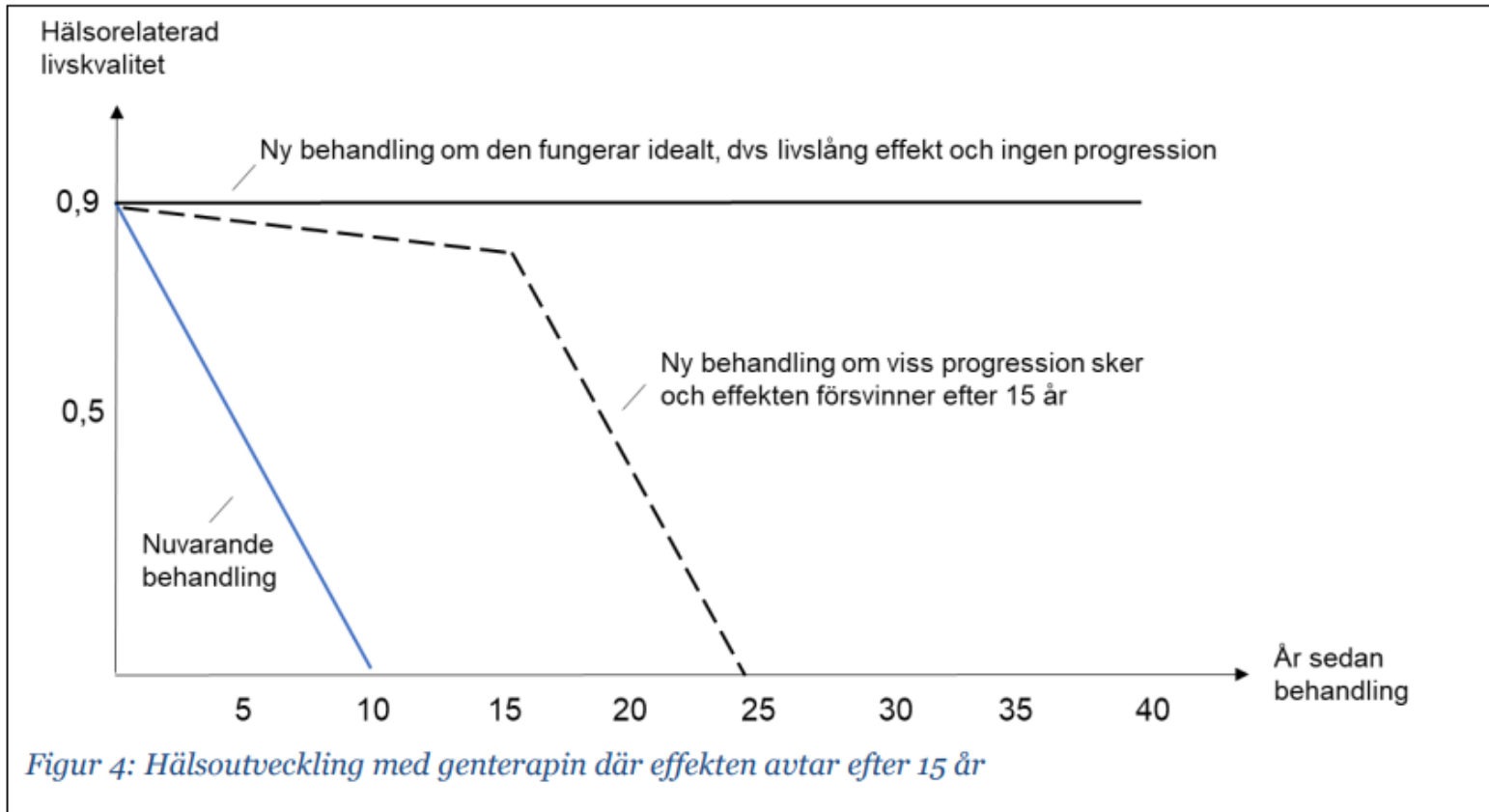
Vad mer?

1. **Säkert, effektivt och med kvalitet?**
– regulatoriskt godkännande
2. Värt pengarna? – HTA,
kostnadseffektivitet
3. Har vi råd? – Budgetpåverkan
4. Resurssättning? – Tillgång till
kompetenser och faciliteter

Vad mer?

1. Säkert, effektivt och med kvalitet?
– regulatoriskt godkännande
2. **Värt pengarna? – HTA,
kostnadseffektivitet**
3. Har vi råd? – Budgetpåverkan
4. Resurssättning? – Tillgång till kompetenser och faciliteter

Från TLVs andra regeringsuppdrag om ATMP



Beräkning och betalning - Fortsatt utredning om utvärderingsmetoder och betalningsmodeller för nya läkemedel som ATMP och precisionsmedicin

TLV har i uppdrag att utveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för avancerade terapiläkemedel (ATMP).

I rapporten föreslår TLV att myndigheten tillsammans med regioner och företag gemensamt bör pröva utfallsbaserade betalningsmodeller, där storleken på betalningen till företaget beror på hur stor hälsovinsten verkligen blir.

Vad mer?

1. Säkert, effektivt och med kvalitet?
– regulatoriskt godkännande
2. Värt pengarna? – HTA,
kostnadseffektivitet
3. Har vi råd? – Budgetpåverkan
4. Resurssättning? – Tillgång till
kompetenser och faciliteter

Fortsätta utveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för avancerade terapiläkemedel (ATMP)

TLV ska fortsätta arbetet med att utveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för avancerade terapiläkemedel (ATMP). Myndigheten ska utgå från de förslag den lämnat i de två tidigare uppdragen Hälsoekonomiska bedömningar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för ATMP (S2020/04362 och S2021/04971).

Uppdraget ska redovisas till regeringen senast den 15 september 2023.

