

**C B G**  

---

*M E B*

*C B G*  

---

*M E B*

'Zeldzaam goed' wetenschappelijk advies

Hoeveel beter kunnen we het nog maken?

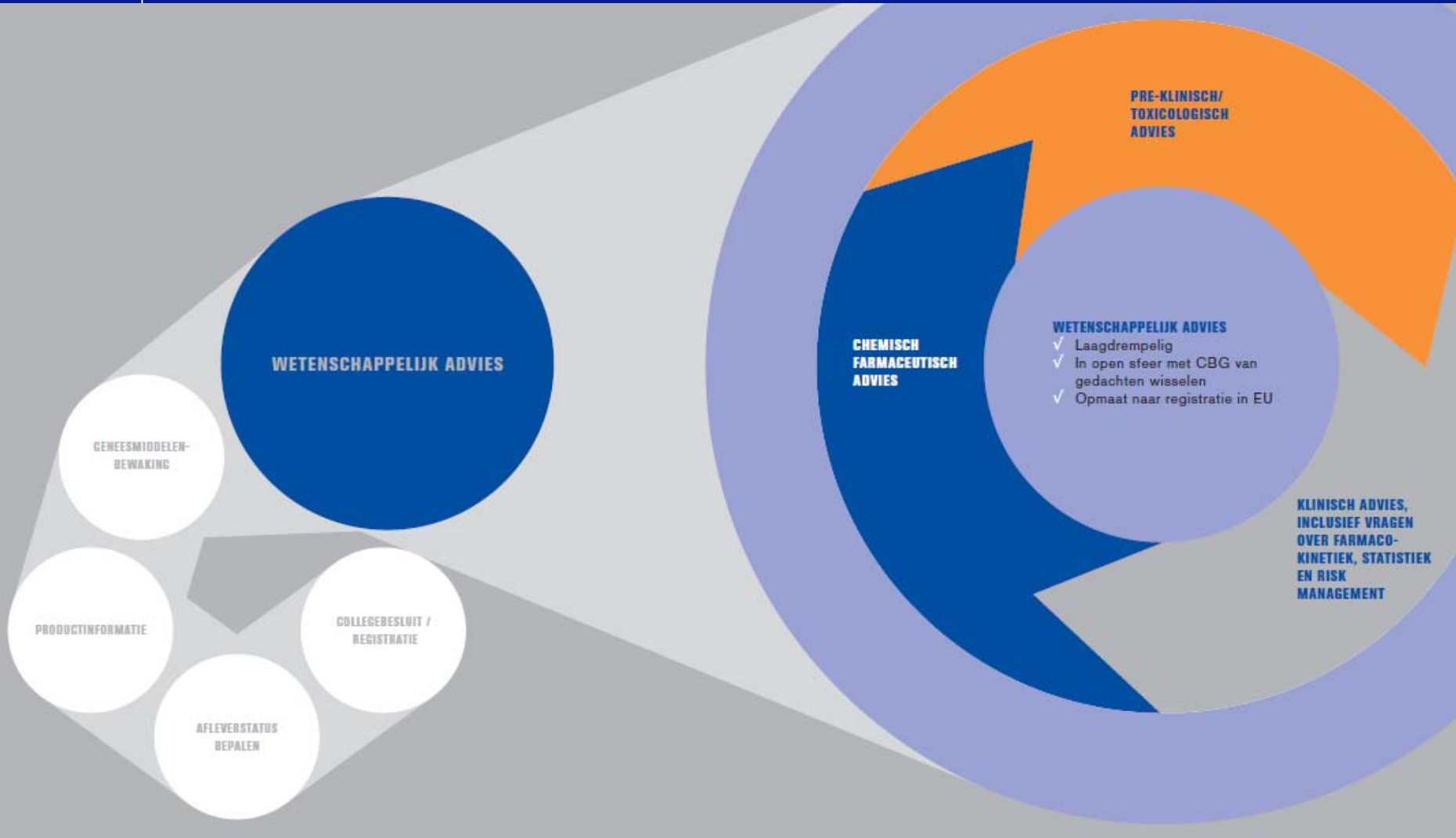
Christine Gispen-de Wied

Programmamanager Wetenschap  
Coördinator Wetenschappelijke Adviesgroep, CBG  
Lid Scientific Advice Working Party, EMA

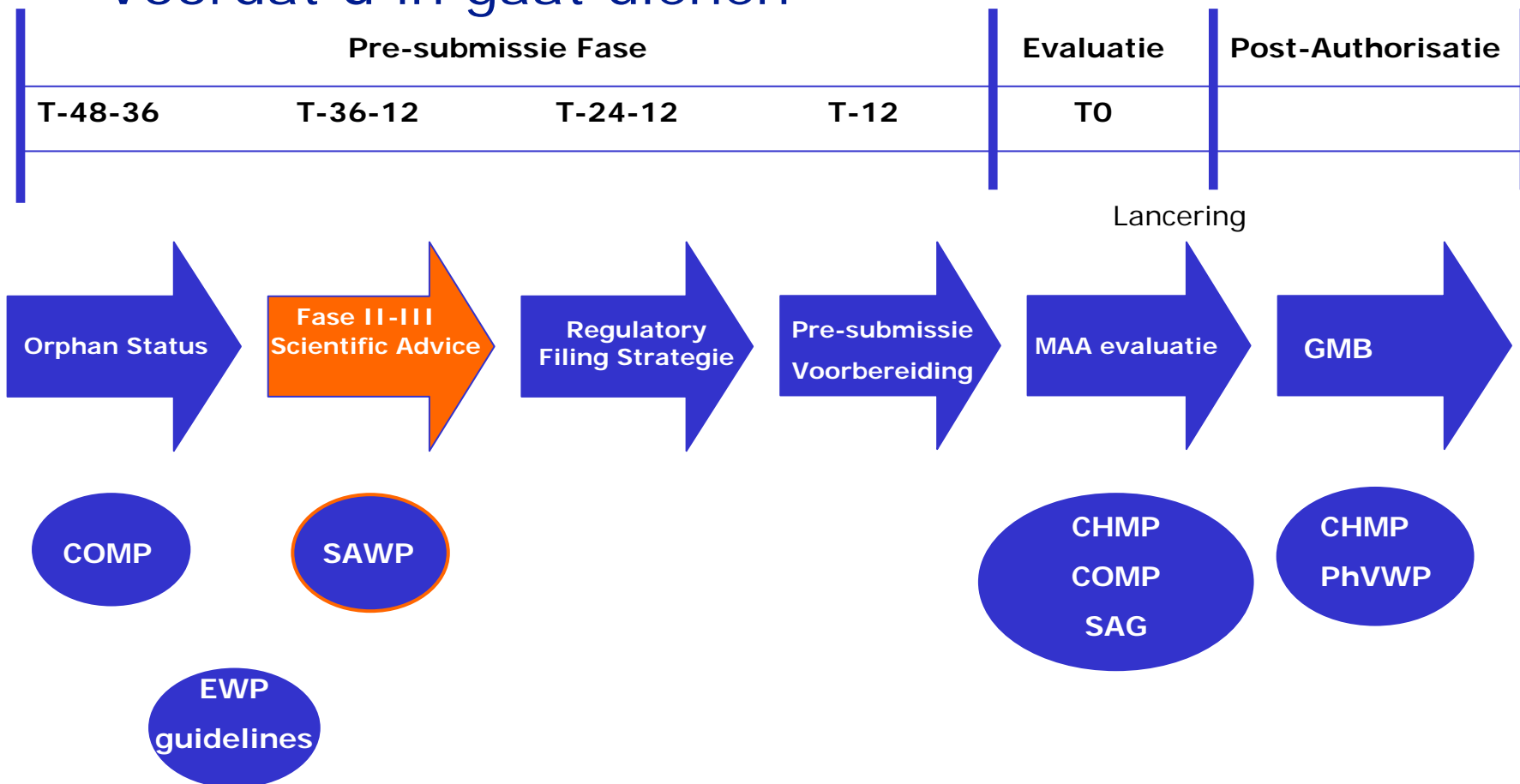


"I'M ON THE VERGE OF A MAJOR BREAKTHROUGH,  
BUT I'M ALSO AT THAT POINT WHERE CHEMISTRY  
LEAVES OFF AND PHYSICS BEGINS, SO I'LL HAVE TO  
DROP THE WHOLE THING."

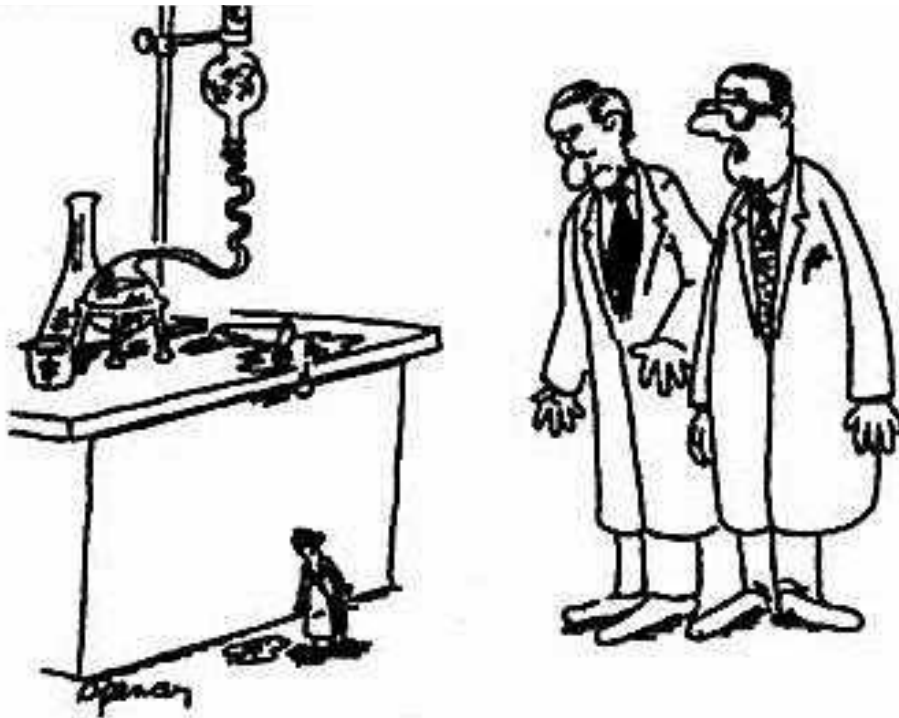
Wetenschappelijk advies



## Vóórdat u in gaat dienen



Waarom zou u wetenschappelijk advies aanvragen?



"I suspect there's been a breakthrough."

## Om te begrijpen wat de regulatoire vereisten en principes voor registratie zijn!

- Om er zeker van te zijn dat het product van goede kwaliteit is
- Om te zorgen dat de data voldoen aan GCP, GLP etc.)
- Om te zorgen dat er voldoende data zijn op elk aspect van een nieuw product: kwaliteit, toxicologie en kliniek
- Zodat er voldoende informatie is voor een adequate beoordeling van de werkzaamheid/schadelijkheids balans

## Waarom nationaal als u Europees terecht kunt?

- Toegankelijk en laagdrempelig
- Wetenschappelijk en regulatorisch advies in één
- Persoonlijk contact
- Gelegenheid om al uw vragen in open dialoog te bespreken
- Participatie van interne en externe experts die Europa (EMA), haar workingparties (SAWP, EWP) en commissies (CHMP, PDCO, CAT en COMP) kennen
- Voorbereiding op EMA



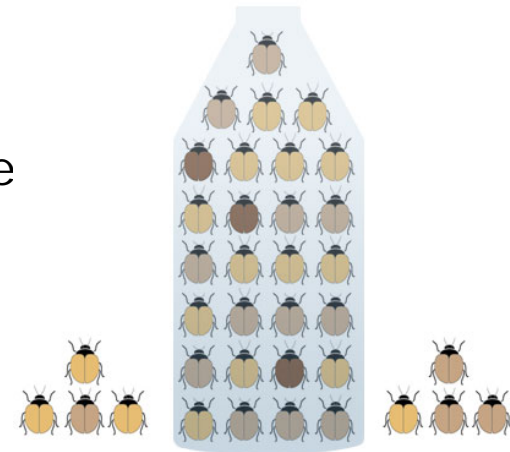
## Protocol Assistance

- Protocol assistance is niet anders dan een scientific advice
- Alleen de prijs is anders en
- Een discussion meeting wordt (bijna) altijd gehonoreerd, maar..
- De SAWP stelt de LoQ vast; meer clarification dan dialoog

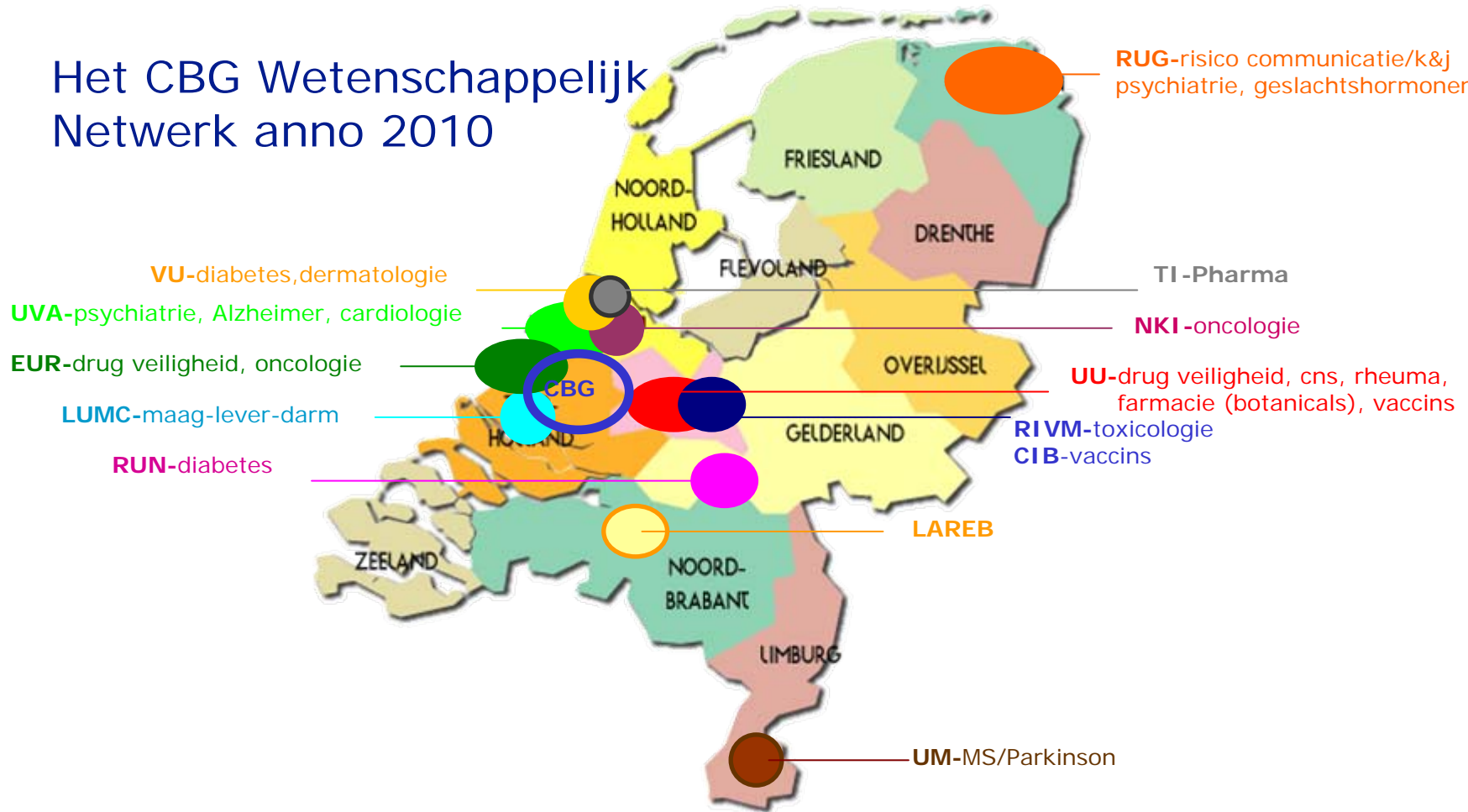


## Onderwerpen die Orphan producten aangaan

- Hoe krijg ik een Orphan status?
- Hoe kom je tot significant benefit?
- Hoe ga je om met bepaalde guideline
  - Small populations
  - One pivotal study
  - N is one trial etc.



# Het CBG Wetenschappelijk Netwerk anno 2010

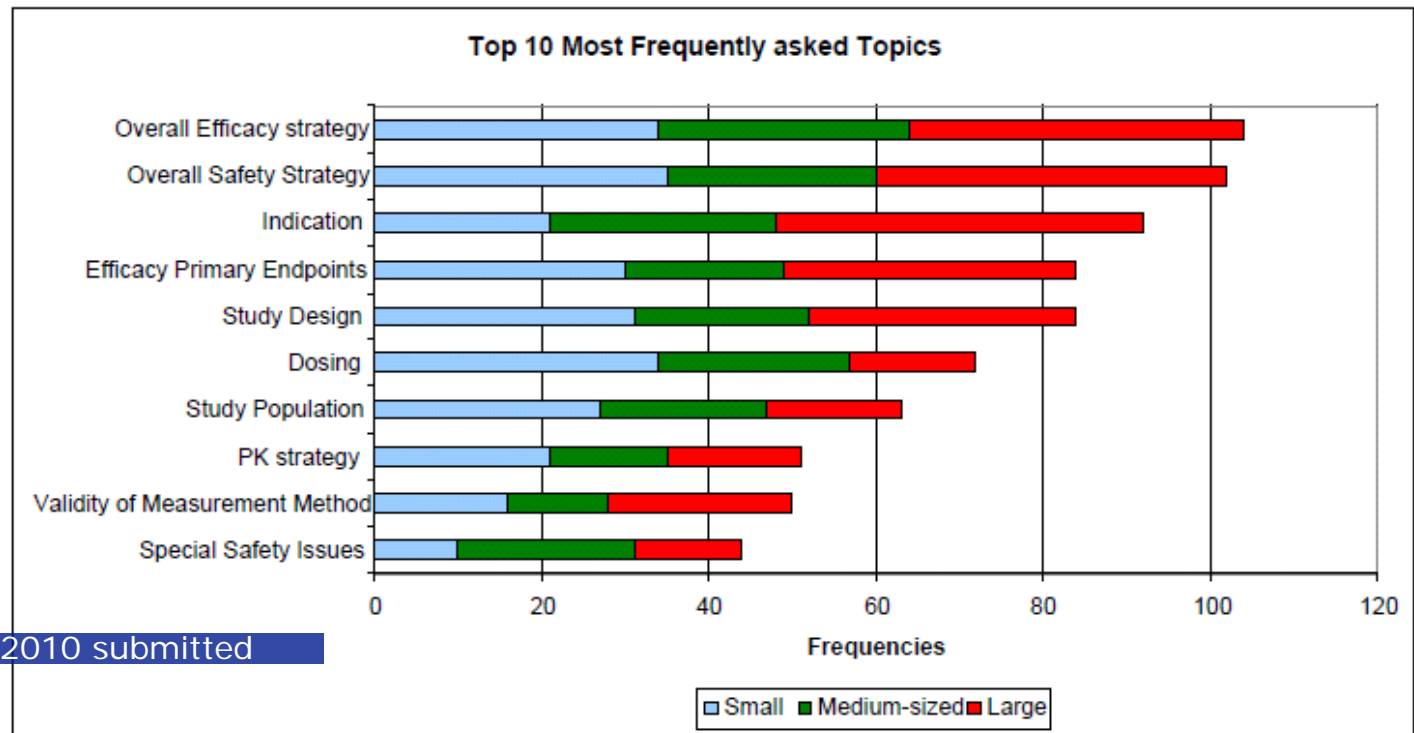


Nauwere samenwerking - de mogelijkheid verkennen van gezamenlijk advies in de toekomst



Variables	Advice (N=201) (% of total no. of advice)
<b>Year</b>	
2006	77 (38.3%)
2007	47 (23.4%)
2008	77 (38.3%)
Total	201(100%)
<b>ATC-Code</b>	
A/Alimentary tract & Metabolism	12 (6.0%)
B/ Blood & Blood forming organs	16 (8.0%)
C/ Cardiovascular system	34 (16.9%)
G/ Genito-Urinary system & sex hormones	15 (7.5%)
J/ Antiinfectives	13 (6.5%)
L/ Antineoplastic & Immunomodulating products	29 (14.4%)
N/ Nervous system	50 (24.9%)
Other	32 (15.9%)
<b>Product Type EMEA</b>	
NCE	43 (21.4%)
Generic	59 (29.4%)
New application of existing drug	64 (31.8%)
Biological (including biosimilars)	34 (16.9%)
Other (General advice)	1 (0.5%)
<b>Orphan drugs</b>	
Orphan drug	3 (1.5%)
Non-orphan drug	198 (98.5%)
<b>Company Size</b>	
Small	110 (54.7%)
Medium-sized	40 (19.9%)
Large	51 (25.4%)

## Results: Top 10 of topics in Questions



Putzeist et al. 2010 submitted

Vandaag is belangrijk dat we naar uw wensen luisteren en ons winkelwagentje laten vullen..





## Discussievragen

1. Wetenschappelijk advies: wat vindt u goede aspecten, welke **suggesties** heeft u voor **verbetering**, wat mist u?
2. In welke fase van de (orphan) productontwikkeling heeft u behoefte aan advies en waar kan een advies bij het CBG voor u een **toegevoegde waarde** hebben naast advies door de EMA?



**C B G**  

---

*M E B*