

**Info-Veranstaltung zur Revision des Heilmittelgesetzes (HMG) – Tag 1**  
25. Oktober 2018, Hotel Allegro/Kursaal Bern

# Orphan Drugs



Anna Barbara Stalder, Prozessmanagerin, Zulassung

## Hintergrund

- Definition «wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drug)» **neu** in Heilmittelgesetz (Art. 4 Abs. 1 Bst. a<sup>decies</sup>)
- ODS **Status** möglich
  - wenn höchstens 5 von 10'000 Personen in der Schweiz betroffen sind (Ziff. 1) oder
  - wenn Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle den Status erteilt hat (Ziff. 2)
- **Anpassung** entsprechender VAZV Artikel notwendig
- **Forschung** für wichtige Arzneimittel gegen seltene Krankheiten **fördern**

## Umsetzung – Was ist neu? (1/2)

- **Zulassungsdokumentation** von Arzneimitteln mit Orphan Drug Status für 15 Jahre **geschützt** (auf Antrag hin)
- **Mitteilungspflicht** zu Orphan Drug Status-Entscheiden von Länder mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle (Art. 5 VAZV)
- **Neuzulassungen** von Orphan Drugs **gebührenbefreit** – Änderungen kosten
- **Verzeichnis** der Orphan Drugs wird neu Arzneimittel enthalten, die zur Zulassung **angemeldet** sind (Art. 7 VAZV)

## Umsetzung – Was ist neu? (2/2)

- **Statusentzug** bei fehlender oder nicht mehr bestehender «Seltenheit» der zu behandelnden Erkrankung (Art. 6 VAZV)
  - Bei unterschiedlichen Statusentscheiden im Ausland (auch nachträglich)
  - Bei Unterteilung in Subindikationen, die im Ausland alle einzeln den Status erhalten, in der Summe jedoch die Erfüllung des Seltenheitskriteriums fraglich ist
  - **Ausnahme**  
Firma weist nach, dass Prävalenzkriterium der Schweiz erfüllt ist

## Übergangsregelung

- Massgebend für Vergabe Unterlagenschutz von 15 Jahren ist **Eingang** (ab 1. Januar 2019) **Zulassungsgesuch**
- **nicht** Eingang (ab 1. Januar 2019) des **Antrags** um Anerkennung ODS

## Key Messages

- Massgebend für Prävalenzkriterium ist die Krankheit in ihrer Gesamtheit (einschliesslich aller Stadien, Subindikationen und/oder mittels Analyse von Gen-Mutationen eingrenzbar Patientengruppen)
- 15 Jahre Unterlagenschutz für *Orphan Drugs* – **Schutz bleibt** auch bei nachträglichem Statusentzug
- Firmen müssen Swissmedic über Statusvergaben im Ausland informieren (Mitteilungspflicht) - auch bei Änderungen davon
- Kein Statusentzug, solange Prävalenzkriterium der Schweiz erfüllt ist

## Rechtsgrundlagen

- **HMG** (Heilmittelgesetz, SR 812.21)
  - Art. 4 Begriffe
  - Art. 11*b* Unterlagenschutz in Spezialfällen
- **VAZV** (SR 812.212.23)
  - Art. 4 Voraussetzungen
  - Art. 5 Verleihung des Status und Mitteilungspflicht
  - Art. 6 Entzug des Status
  - Art. 7 Verzeichnis
- **GebV-Swissmedic** (SR 812.214.5)

## Vorgabedokumente

- **Wegleitung** *Orphan Drug HMTV4*
- **Formular** *Anerkennung Orphan Drug Status HMTV4*