

加速细胞和基因治疗获批的六大策略

(来源: 卡地纳健康的白皮书)

经过数十年缓慢而稳步地发展, 细胞和基因治疗正取得重要突破, 证明可减缓疾病进程、改善结果以及在特定情况下可治愈一系列疾病的潜力。然而, 这些尖端疗法的开发者在应对复杂临床试验和监管障碍时, 尤其是在寻求加速审批时, 面临着新挑战。

由于细胞和基因治疗的剂量具有独特性、因患者而变的特性及每种治疗的潜在患者数量有限, 该治疗的开发没有所谓的“运营手册”。细胞核基因治疗背后的科学对于FDA评审人员来说都是新领域, 他们必须审查证据以证明每种新疗法的疗效。传统治疗所要求的制造工艺不太复杂, 因此FDA 80%以上的审查过程都集中在与临床疗效和安全性有关的问题上。FDA审查过程中只有20%通常侧重于与产品制造和交付有关的问题。对于这些产品, 建议制剂开发与临床开发同步进行。当涉及到细胞和基因治疗时, 这种评审方法将要改变, 因为制药商对生产过程的控制程度, 直接与制药商控制每个患者单独剂量的质量有关, 细胞和基因治疗的生产过程更为复杂, 尤其是自体细胞疗法, 该治疗的“产品就是生产过程”。对于这些新治疗方法, 与生产过程相关的质量问题影响整个药品开发项目进程。

FDA审查主要侧重于治疗的关键质量属性, 并在开发的早期, 通常是临床前研究, 控制这些属性。在开发的早期, 需要其有关药效、生产、给药方式以及如何管理患者的数据。另一个主要区别是许多细胞和基因治疗是由中小型公司赞助的, 这些公司缺乏了解与监管当局合作复杂性的大型专家工作团队。以卡地纳健康的监管科学为例, 它四十年的经验可支持制药和生物技术公司快速将其产品推向市场, 并采用6种行之有效的策略, 帮助细胞和基因疗法的制造商降低失败的风险并加快上市速度, 包括:

- 从清晰、高度协作的框架开始, 促进不同内部团队之间的领导力和沟通

(第2页继续)

简讯...

美源伯根集团 (ABC) 报告称, 截至2020年3月31日的2020年第二季度收入增长9.5%, 达到\$474亿。2020财年三月GAAP稀释每股收益 (EPS) 为\$4.64, 而去年同期为\$0.13。ABC董事长、总裁兼CEO Steven H. Collis表示: “我们很高兴报告2020财年第二季度的收入延续了上个季度的增长, 并调整了稀释每股收益增长, 但我们更为整个公司在确保患者能在治疗期间能继续获得药品而所做的令人印象深刻的工作而更感到自豪。”

沃尔格林与LabCorp合作, 计划为COVID-19则增加快速检测点, 重点关注服务不足的社区。检测地点将由特朗普政府决定, 预计每周对50,000多人进行检测。CVS Health还与卫生与公众服务部、美国国家医学协会合作, 通过增加快速检测点的检测, 加强检测力度。两家公司还在开发相应解决方案, 为了美国重新开放的先行企业直接提供检测点。另外沃尔格林一个名为“红鼻日”的、为了消除儿童贫困的运动, 由于社交隔离将改为线上进行。

巴西药品分销商Profarma Group 公布2020年第一季度业绩, 总收入增长27.4%, 总收益增长41.8%, 达4,630万雷亚尔 (约8百万美元)。截至2020年3月31日, 年度收益为2.039亿雷亚尔。其分销部门的总收入达到15亿雷亚尔, 增长了31.6%, 创历史新高。

美国司法部清除了美国药品分销商向冠状病毒患者提供羟基氯奎因的法律障碍。美源伯根、麦克森和卡地纳健康获得了分发该药的批准。美源伯根现准备与联邦政府机构和医疗保健提供者合作, 向有冠状病毒症状的患者分发羟基氯奎因。把抗疟疾药品羟基氯奎因用于治疗COVID-19一直是一个有争议的选择。它会恶化有可能导致死亡的心脏疾病, 并且该治疗方案尚未进入任何美国临床试验。

辉瑞和BioNTech公司正在合作开发一种基于信使RNA的疫苗来对抗COVID-19。该疫苗正在人体上进行试验, 预计5月底或6月将有相关试验结果。辉瑞是较其他制药商来说

(第2页继续)

IPFW 2020年会员大会将推迟至2021年

更多信息将在接下来的数月内公布

IPFW期待于2021年10月6~8日在东京欢迎您!

如果您有更多疑问, 请联系Christina Tucker
邮箱地址是c.tucker@ifpw.com



欢迎强生医疗保健系统成为其最新的
制药商会员

强生医疗系统 (JJHCS) 是IPFW的全球制药商会员的最新成员。JJHCS为医疗客户提供帐户管理、代工、供应链和商业服务, 这些客户包括医院系统及集中采购组织 (GPO)、医疗保险公司、PBM、雇主和政府医疗保健机构。IPFW荣幸欢迎JJHCS成为会员。

加速细胞 ...

- 尽早制定一致的信息，并进行跨职能合作，在整个产品生命周期内控制、调整和维护信息的一致性
- 对产品有明确的理解
- 制定并不断调整适应现实的时间表和工具，使开发步入正轨并保持一致
- 充分利用每个与FDA交流的机会。听取并充分解决他们的反馈
- 请记住加速开发并不等于加速批准

细胞和基因治疗的开发项目是非常复杂的——有效管理这些计划需要所有内部和外部利益相关方之间进行战略调整，同时结合周密规划、完整的时间表和沟通来指导整个开发阶段的进展。制药商在面对FDA时必须具有高度适应性，通过各方共同努力，采取逐案处理的方式，来理解和论证每种创新治疗的潜在风险和益处。创建并执行清晰的计划和时间表，在短期内需要前期投资，但从长期来看则可降低风险并加快审批速度。

有关卡地纳健康成功策略的更多信息，请访问 <https://www.cardinalhealth.com/content/dam/corp/web/documents/whitepaper/cardinal-health-reg-sci-cell-and-gene-therapies.pdf> 或发送邮件至 specialtysolutions@cardinalhealth.com。

吉利德的主要挑战是为瑞德西韦 (Remdesivir) 建立可持续发展模式 (Joseph Haas为Scrip撰写的一篇文章)

吉利德获得了瑞德西韦最新疗效数据，希望在其COVID-19治疗药品的经济可持续性和可及性之间取得平衡。

在两项临床试验表明该药品可为COVID-19住院患者提供治疗益处的第二天，吉利德在第一季度盈利发布会的中心议题就是该抗病毒药。美国国家过敏和传染病研究所 (NIAID) 的研究和一个吉利德赞助的III期临床研究的早期数据表明瑞德西韦有望成为获批药品，预计很快就会获得FDA紧急使用授权 (EUA)。

瑞德西韦最初是为治疗埃博拉病毒而开发的，后来被标榜为治疗COVID-19的潜在先导化合物。吉利德 CEO Daniel O' Day表示该公司正与FDA进行讨论，目的是通过EUA尽快将其推向市场。

“该药获监管部门批准后，我们将配发药品。因此可能收取一些费用” O' Day说，“我们的目标是让瑞德西韦全面获批。”

O' Day补充说，吉利德目前已捐赠了150万剂瑞德西韦用于恩慈疗法和临床试验，但获EUA批准后，可以开始收取费用。他没有透露吉利德是否会这样做。他没有明确地把瑞德西韦归类为一个利润丰厚的药品，如吉利德的HIV和丙肝药物。

然而，他明确表明NIAID的所长Anthony Fauci对目前数据的评价正面，O' Day表示这些评论意味着治疗该病毒的市场格局已发生了变化，其他治疗方法需要与瑞德西韦进行比较或提供额外的治疗益处，就如开发HIV治疗方案一样。

“瑞德西韦将成为一种基础治疗，将尝试用它来改善症状、降低死亡率，并将扩大适用人群。因此，这是我们为瑞德西韦建立可持续发展模式时需要考虑的一个因素。我们一直都在思考这些事情，” O' Day说道。

吉利德CFO Andrew Dickinson说大流行对吉利德第一季度生意的负面影响并不明显，同时吉利德发现在该季度中一些药品出现大量采购（尤其是HIV治疗药品），为公司带来额外的\$2亿营收。但是，从四月起，大流行将对吉利德的业务产生更大的影响，因为大流行已经影响了医疗部门的行为。

简讯...

制定时间表最快的公司之一，该公司希望到2020年秋季末疫苗能够上市，但这取决于能否获得FDA的紧急使用授权。

日本政府正在收紧对外国收购抗击传染病所必须药品、医疗器械、疫苗和血液制品的监管，目前已包括“生物制药生产商”。这些法规重点针对制造传染病治疗、抗生素、呼吸机和体外膜氧合 (ECMO) 设备的公司。

武田制药正在考虑出售其日本消费者医疗保健子公司，作为收购Shire后努力还债的一部分。该公司在4月24日宣布，还将进一步将资源重点放在处方药上。据知情人士透露，提供非处方药如Benza Block感冒药、Alinamin系列能量饮料和其他保健产品的武田消费者保健公司的预计价值在3,000亿至4,000亿日元（约28~37亿美元）。

制药商罗氏的COVID-19抗体检测已获得FDA EUA批准。罗氏宣布，将向其德国制造工厂投入4.59亿美元以提高产量。德国政府已与罗氏签署协议，在5月份确保获得300万份诊断检测，并在之后的每个月提供额外500万份检测。罗氏计划到2020年底每月生产1亿份检测。

(来源：药店新闻、Newsweek、Scrip和日本药企)