

DANSKE KRÆFTFORSKNINGSDAGE 2026

Regulatoriske perspektiver på individualiseret behandling

Torsten Holm Nielsen, overlæge, phd
Lægemiddelstyrelsen

- **Disclaimer**

- Udsagn og meninger er mine egne og skal ikke ses som officiel politik fra hverken Lægemiddelstyrelsen eller EMA.
- Ingen interessekonflikter.

Godt at vide om det regulatoriske system:

- **Godkendelse af kræftlægemidler reguleres som udgangspunkt på europæisk niveau.**
 - Europakommissionen godkender men vejledes af videnskabelig komité med repræsentation af alle medlemslande (Committee for Medicinal Products for Human use (CHMP)).
 - Gælder både helt nye lægemidler og indikationsudvidelser.
 - **Ibrugtagning** reguleres primært nationalt (Medicinrådet).

Udfordringer ifm individualiseret behandling:

- **Udfordring:**
 - Små populationer kan gøre randomiserede forsøg vanskelige.
- **Løsninger:**
 - Mulighed for tidlig betinget godkendelse mod at man senere kommer med mere robuste data (Conditional Marketing Authorization).
 - Mulighed for godkendelse under "Exceptional circumstances" hvis det simpelthen ikke er muligt for ansøger at tilvejebringe robuste data.
 - Forskellige politiske tiltag mhp at fremme innovation, herunder:
 - New Pharma Legislation
 - Biotech Act
 - DK life science strategi
 - ATMP DK
 - Godkendelser baseret på virkningsmekanisme/driver mutation snarere end på den enkelte cancer (feks NTRK/HER2).

Råd og vejledning:

- **Primært relevant med regulatorisk råd og vejledning hvis man planlægger et studie som potentielt kan føre til en godkendelse.**
 - EMA tilbud:
 - Scientific Advice: Svar på konkrete spørgsmål vedr. udvikling.
 - Innovation Task Force: Tidlig dialog vedr. udvikling.
 - PRIME: Fuld ”pakkeløsning” af rådgivning, skal ansøges.
 - ACT EU: Facilitering af kliniske forsøg.
 - Lægemiddelstyrelsen tilbud:
 - Videnskabelig rådgivning.

DANSKE KRÆFTFORSKNINGS DAGE 2026

THNL@DKMA.dk

Torsten Holm Nielsen, overlæge, phd
Lægemiddelstyrelsen