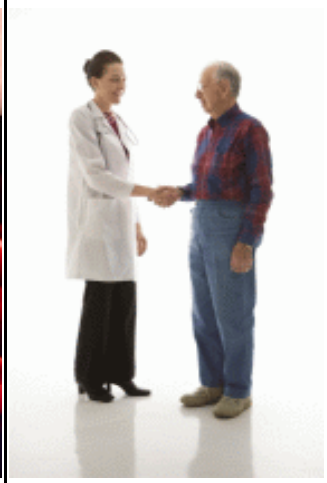
Die praktische Entwicklung von Orphan Drugs – wo und wie können Patienten aktiv mitwirken?

12. März 2010, vfa - Berlin

Martina Ochel
Geschäftsführerin Genzyme GmbH

Die 5 Phasen der Produktentwicklung

Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung
				

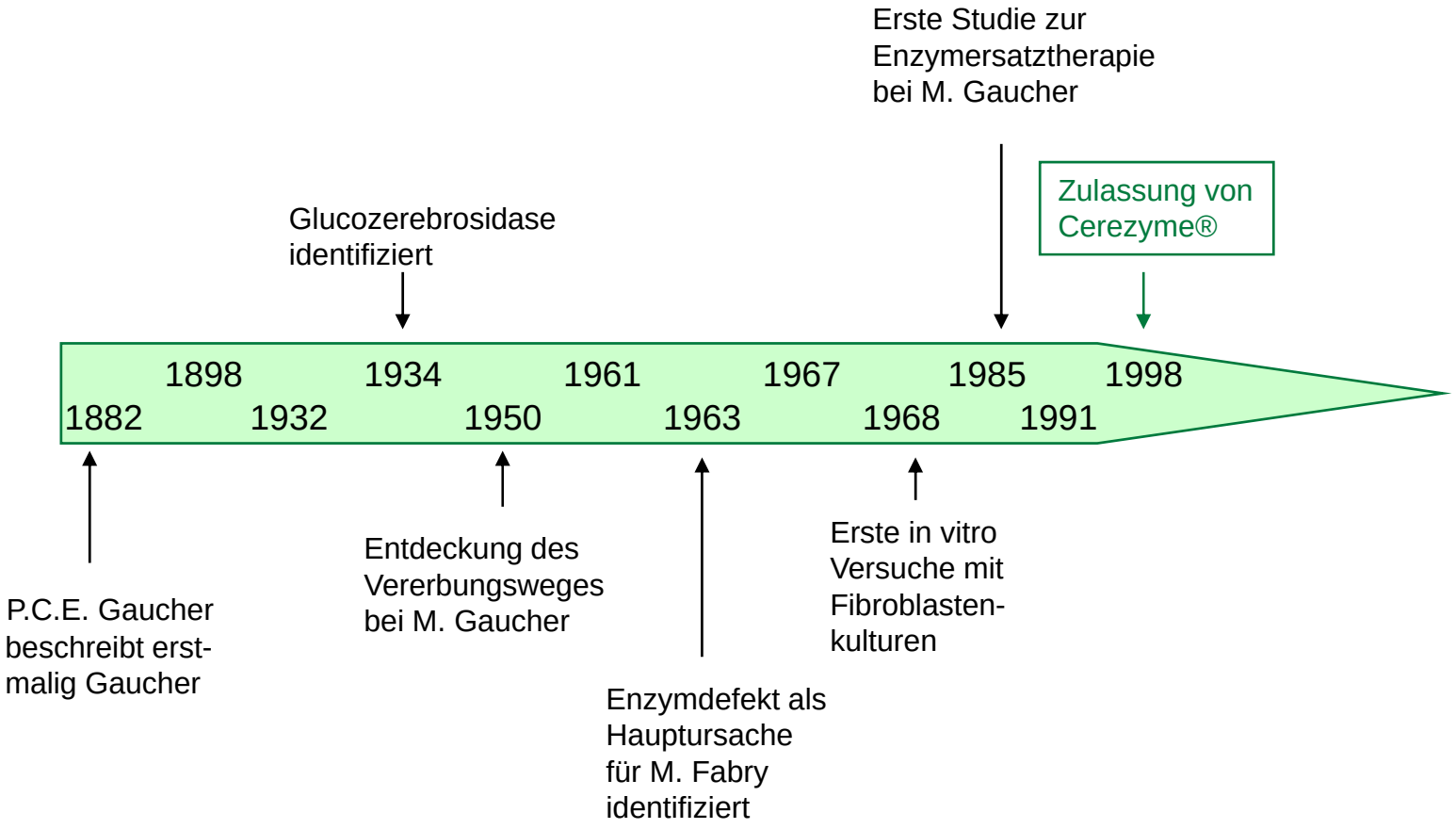
genzyme

Entdeckung & Präklinische Forschung

Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung

genzyme

Entdeckung & Präklinische Forschung
- Am Beispiel von Morbus Gaucher -



Frage: Wie kam es, dass die Produktentwicklung angestoßen wurde?

genzyme

Entdeckung & Präklinische Forschung
- Am Beispiel von Morbus Gaucher -

1. Gaucher-Patient Brian bei der Diagnose 1983

1. Gaucher-Patient Brian unter Therapie 2001

genzyme

Präklinische Entwicklung

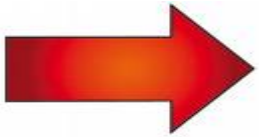
Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung

genzyme

Präklinische Entwicklung

Zellkulturen und Patienten – wie paßt das zusammen?

- Grundstein für klinische Entwicklung
- „Natural History“ – Die Krankheit verstehen!
- Gespräche mit klinischen Experten
- Netzwerke verstehen
- Wieviele bekannte Patienten gibt es?



Patientenorganisationen!

genzyme

Klinische Forschung – Phase 1-3

Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung

genzyme

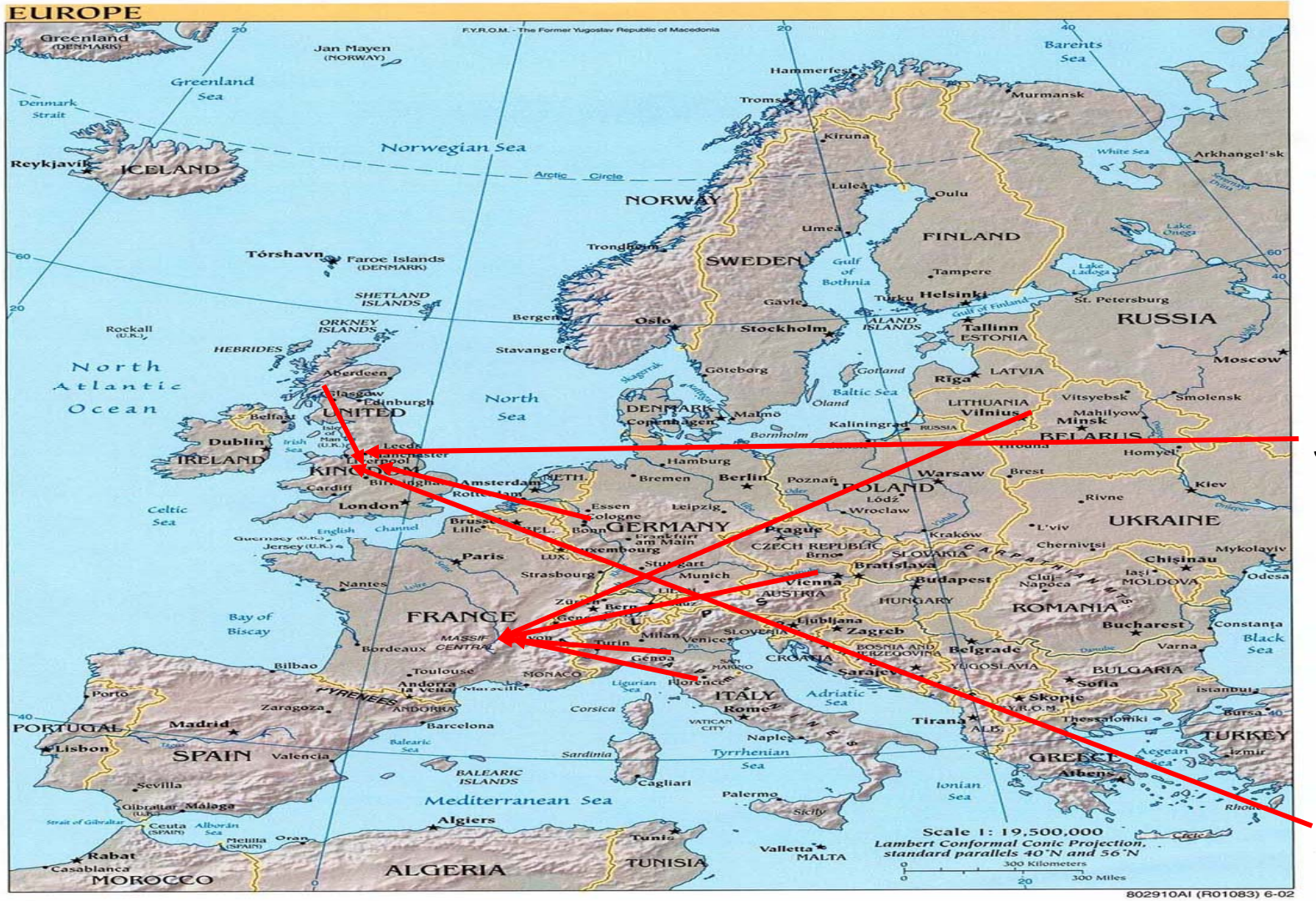
Klinische Entwicklung – Phase 1-3

Patientenorganisationen können helfen bei

- Patientenrekrutierung
- Weitergabe von Patienten gerechten Informationen
- Begleitung von Patienten und Angehörigen während klinischer Studien

genzyme

Klinische Entwicklung – Phase 1-3
Aber auch Angehörige können helfen



genzyme

Zulassung

Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung

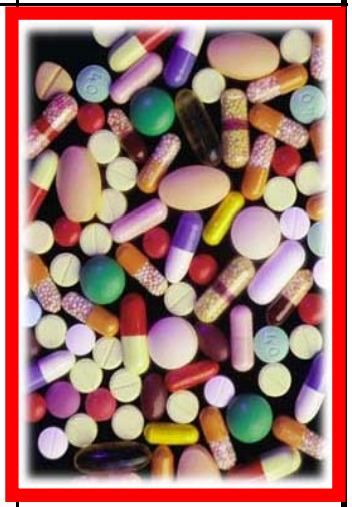
genzyme

Zulassung

- 13. Dezember 2005 Hearing bei der EMEA für Morbus Pompe
- Genzyme entschied sich Maryze Schoneveld van der Linde aus den Niederlanden einzuladen. Maryze hatte die gesamte Entwicklung der Therapie zur Behandlung von M. Pompe „am eigenen Leibe“ miterlebt. Sie selbst leidet unter der juvenilen Verlaufsform von M. Pompe, war 2005 bereits Rollstuhl – und beatmungspflichtig.
- 29. März 2006 Zulassung von der EMEA für alle Verlaufsformen

genzyme

Nach der Zulassung

Entdeckung & Präklinische Forschung	Präklinische Entwicklung	Klinische Forschung Phase 1 - 3	Zulassung	Nach der Zulassung
				

genzyme

Nach der Zulassung

- **Gaucher Registry**
  - Einführung in 1991
  - Über 4000 Patienten erfasst

- **Fabry Registry**
  - Einführung in 2001
  - Über 1800 Patienten erfasst

- **MPS I Registry**
  - Einführung in 2003
  - Über 250 Patienten erfasst

- **Pompe Registry**
  - Einführung bereits vor Zulassung in 2004
  - 200 Patienten erfasst

GAUCHER REGISTRY
I C G G

FABRY REGISTRY

MPS I REGISTRY

POMPE REGISTRY

genzyme

Nach der Zulassung

Gemeinsame Projekte der Patientenorganisationen und der Industrie,
um Erkrankungen und Behandlungsmöglichkeiten bekannt zu machen

MPS-Wanderausstellung

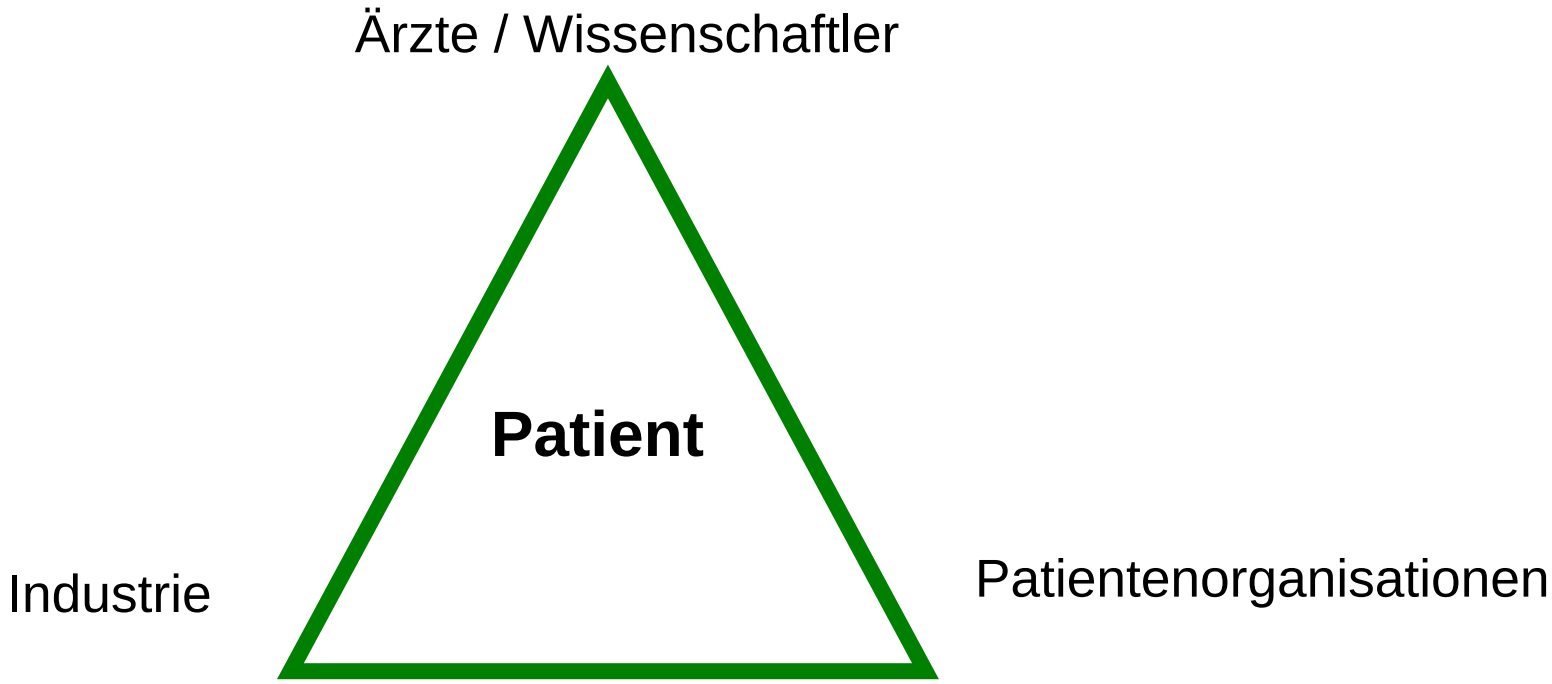
Nach der Zulassung
Patienten gehen an die Öffentlichkeit

genzyme

Nach der Zulassung
Patienten gehen an die Öffentlichkeit

genzyme

Grundlagen für eine gute Zusammenarbeit



- Respektvoller Umgang miteinander
- Transparente und offene Kommunikation
- Erwartungen abklären
- Rollen und Verantwortlichkeiten definieren

genzyme

Danke für Ihre Aufmerksamkeit !

Genzyme GmbH
Siemensstraße 5b
63263 Neu-Isenburg

☎ 06102-36 74-0
🖷 06102-36 74-100
web: www.genzyme.de

Quelle: Genzyme