

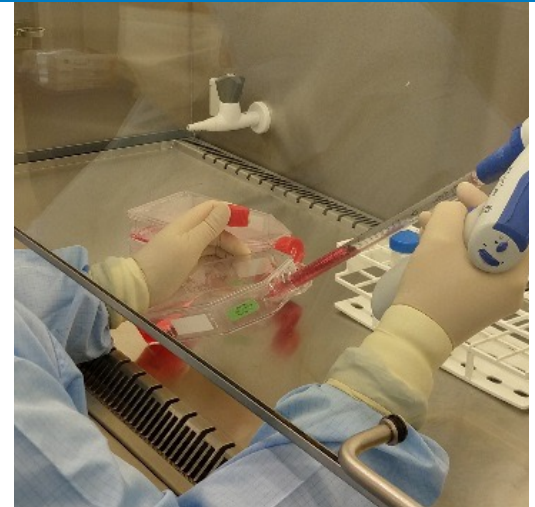


Leiden University
Medical Center

Ontwikkeling en productie van ATMPs in de academie

Knelpunten en uitdagingen

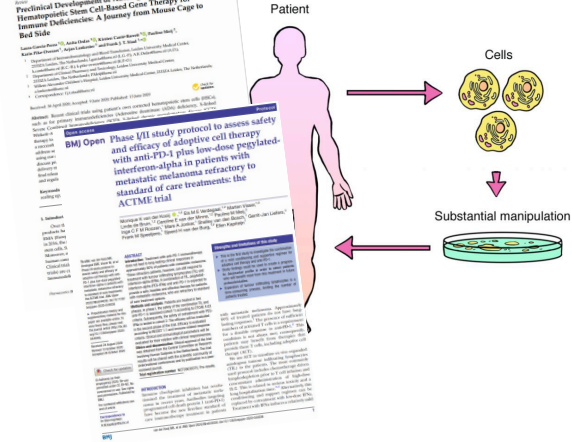
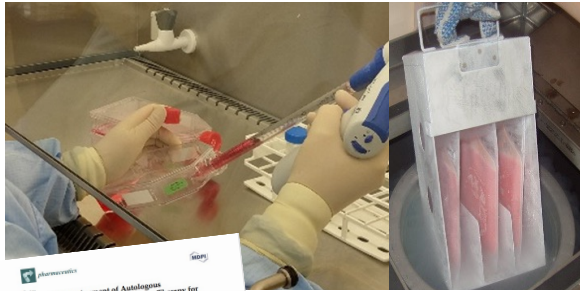
Pauline Meij
Centrum voor Cel- en Gentherapie
LEIDS UNIVERSITAIR MEDISCH CENTRUM



- Innovatie en ontwikkeling in de productie van academische ATMPs en 'infectious challenge agents'
 - Expertisecentrum voor de translatie, GMP productie en regelgeving van ATMPs en 'infectious challenge agents'
 - Voorzien van ATMPs aan patiënten binnen de specifieke academische zorg
- >20 different ATMPs (alle subtypen) ontwikkeld en geproduceerd

Center for Cell and Gene Therapy

Cell and Gene Therapies



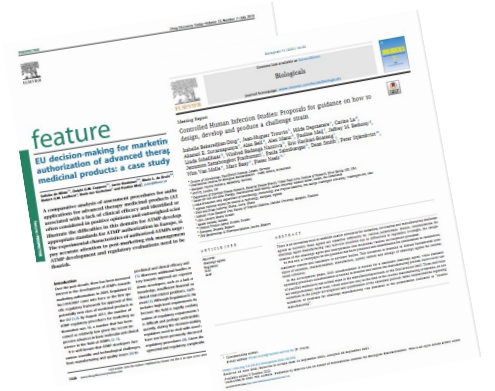
Challenge Agents for Controlled Human Infection Models



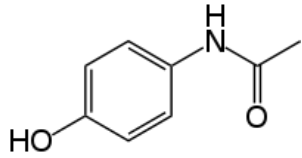
Production of GMP-grade Sars-CoV-2



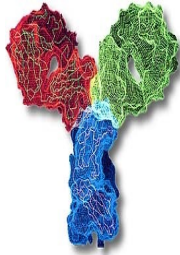
Regulatory support



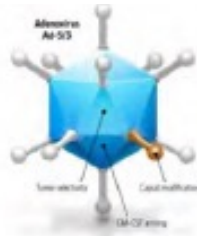
Toenemende complexiteit van geneesmiddelen



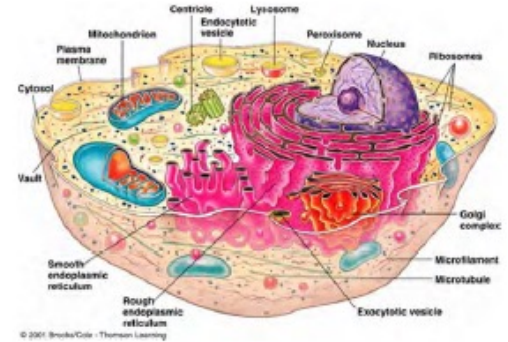
Acetaminophen
Ø 1 nm



Antibody
Ø 10 nm



Virus
Ø 7- 1,000 nm

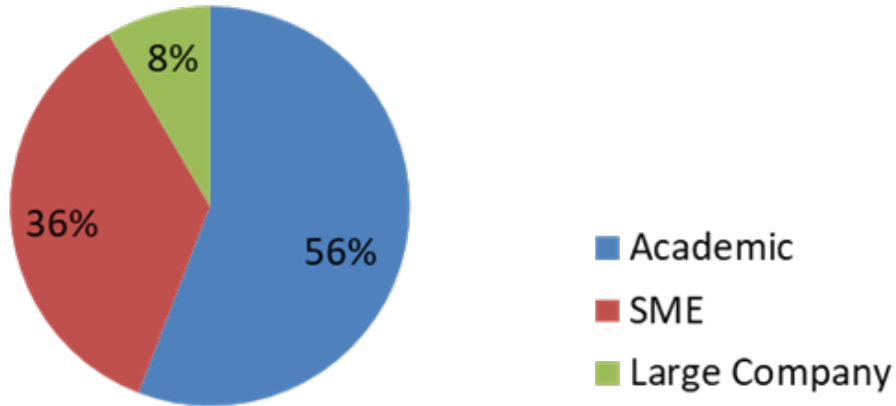


Cell
Ø 10-50 µm

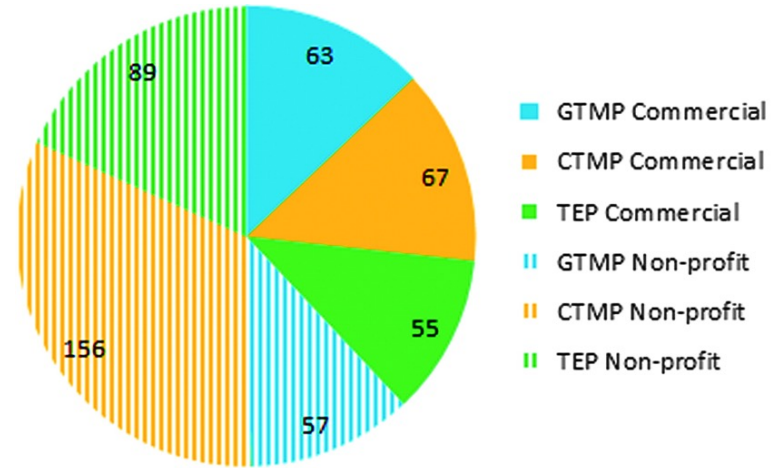


Tissues
Ø > 100 µm

Betrokkenheid academie in ATMP ontwikkeling

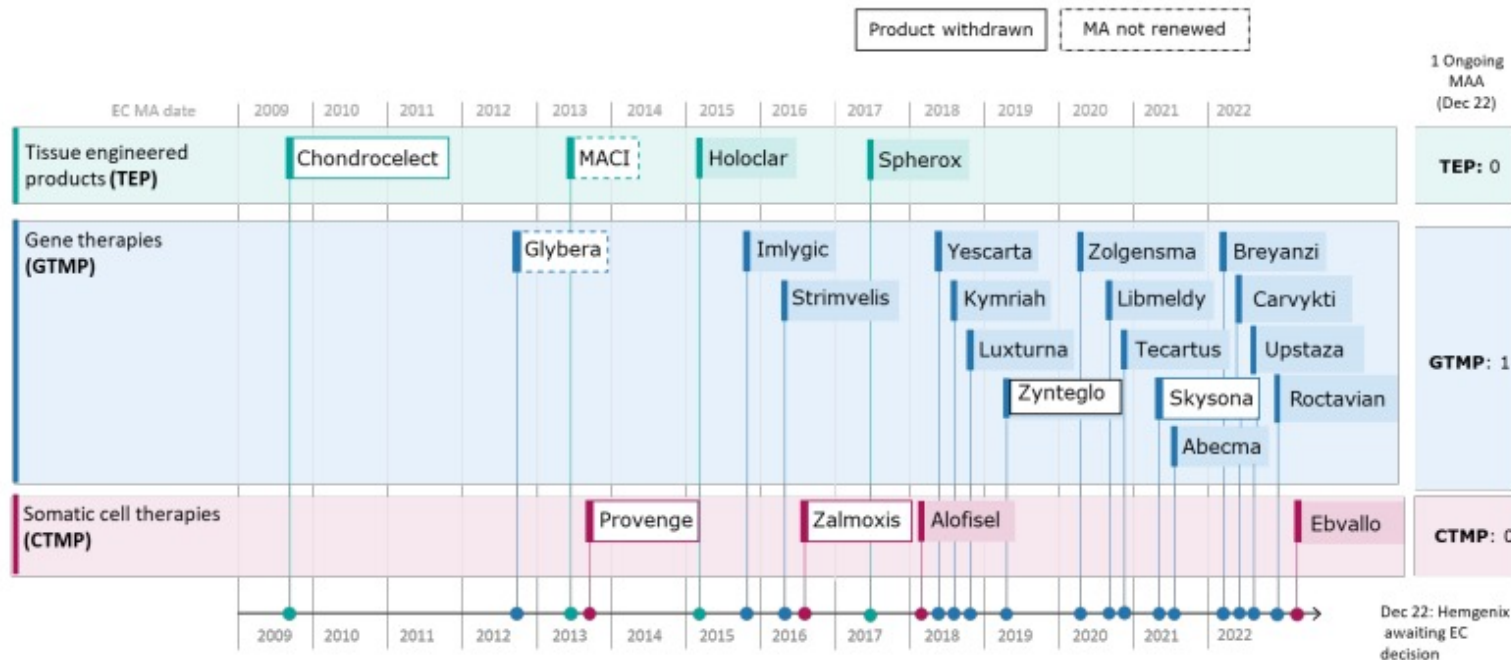


(de Wilde et al, Mol Ther Methods Clin Dev. 2016)



(Boráň et al, Hum Gen Ther Clin Development, 2017)

Approved ATMPs 2009-2022



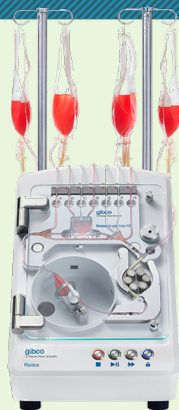
Kleine schaal



Multiproduct

Grote schaal

Scale-up



Scale-out

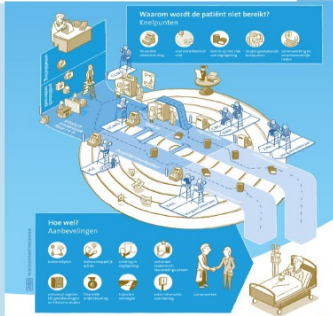


Identificeren van knelpunten

LU Leids Universitair
MC Medisch Centrum

Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) naar de reguliere klinische zorg

Knelpunten en Mogelijkheden



P. MEIJ
L.A. VELTROP
S.P. DE WILDE

MAART 2016



Advanced Therapy Medicinal Products

Pauline Meij (Leiden University Medical Center),
Josep M. Canals (University of Barcelona), Maeve Lowery (Trinity College Dublin)
and Mike Scott (University of Cambridge).



Briefing paper No. 3 - September 2019

Knelpunten

Binnen de academie (universiteiten/onderzoeksinstituten, not-for-profit organisaties)

- Financiële support
- Snelheid van nieuwe ontwikkelingen
- Gebrek aan kennis in regelgeving en productontwikkeling
- Kwaliteit en design van de klinische studies

Algemeen in het veld

- Weinig producten met “market access”
- Toegang tot ATMPs voor patiënten beperkt
- Kosten / vergoeding

Aanbevelingen

- ATMP ontwikkeling in de academie meer gefocused
- Verbeteren van interacties tussen stakeholders
- Hospital Exemption

- Rol van academie moet verbeterd m.b.t.
 - Complementeren van de industriële sector
 - ATMPs (met geen of lage commerciële waarde) bij de patiënt brengen

Kansen en knelpunten voor de toekomst

- Rol academie in het naar de patiënt brengen van ATMPs die niet opgepikt worden door de industrie
 - Hospital exemption
 - Academie als 'marketing authorization holder'
- Verbeteren van interacties tussen stakeholders
- Point of care manufacturing
 - Benodigheden / infrastructuur
 - Hoe / waar / wanneer
 - Verantwoordelijkheden / kwaliteit / regelgeving

Kansen en knelpunten voor de toekomst

- Wetenschappelijke en technologische vooruitgang
 - Gene editing, combined ATMPs, platform benaderingen, nieuwe technieken in productie
 - Zijn de regulatoire 'frameworks' geschikt hiervoor of moeten die aangepast
- Prijsstelling en vergoeding
- Verbeteren kennis regelgeving en productontwikkeling in de academie



Leiden University
Medical Center

Dank voor uw aandacht

p.meij@lumc.nl

