

# Orphan Drug Development unter dem GSAV

## Die Themen

- Von der Orphan Designation zum Markt Approval
- Zulassung: Conditional Approval, Exceptional Circumstances ...
- Auflagen: Studien, Register
- Datenerhebung nach Anforderungen des GSAV
- GSAV und die Konsequenzen für Orphan-Entwicklungsprogramme

Zulassung, AMNOG und mögliche Auflagen aus beiden Verfahren

## Ihre Referenten

Dr. Matthias Dormeyer  
MDC RegAffairs GmbH, Köln

Dr. Yvonne Schmidt  
G-BA, Berlin

Dr. Frauke Naumann-Winter, M.Sc.  
Senior Expert Regulatory Affairs, Bonn

Dr. Valérie Straßmann  
Senior Expert Pharmacovigilance, Bonn

## Ziel des Seminars

Das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung führt u.a. zu neuen Anforderungen an Orphan Drugs. Dieses Seminar fokussiert auf die beiden regulatorischen Bereiche Arzneimittelzulassung und Zusatznutzenbewertung, die die Vermarktungsoptionen von Orphan Drugs maßgeblich beeinflussen.

Nach Seminarende kennen Sie die regulatorischen Anforderungen an beide Verfahren und wissen, welche Auflagen daraus für Sie auch nach Approval erwachsen können. Dabei werden auch erste Hinweise auf das Zusammenspiel von Zulassungsbehörde und HTA-Agentur gegeben.

Nutzen Sie dieses Seminar, um Ihre Entwicklungsprogramme den neuen Anforderungen anzupassen.

## Teilnehmerkreis

Dieses Seminar richtet sich an alle Mitarbeiter pharmazeutischer Unternehmen, die Orphan Drugs entwickeln und/oder vermarkten.

Es richtet sich insbesondere an Mitarbeiter der Bereiche Business Development, Regulatory Affairs, Market Access und Healthcare Management, die regulatorisches Know-how in diesem Bereich benötigen.

## Ihre Referenten



**Dr. Matthias Dormeyer**  
MDC RegAffairs GmbH,  
Köln

Geschäftsführer



**Dr. Frauke Naumann-  
Winter, M.Sc.**  
Bonn

Senior Expert Regulatory Affairs



**Dr. Yvonne Schmidt**  
Gemeinsamer Bundesaus-  
schuss (G-BA), Berlin

Referentin,  
Abteilung Arzneimittel



**Dr. Valérie Straßmann**  
Bonn

Senior Expert Pharmacovigilance

## Unser Qualitätsversprechen

Wir arbeiten nach den IMI-Qualitätskriterien. Eine Gesamtbewertung durch 2701 Teilnehmer in 348 Seminaren ergab die Schulnote 1,6 für unsere Gesamtleistung (Erhebungszeitraum 10/17 - 9/18).

## Ihr Programm von 09:00 - 17:00 Uhr

> 09:00 Uhr

### Orphan Drug Development

*Dr. Matthias Dormeyer*

- Aktuelle Entwicklungsherausforderungen in Europa im Vergleich zu den USA
- Orphan Drugs & pädiatrisches Arzneimittel - eine weitere Komplexitätsstufe?
- Von der Orphan Designation zum Markt Approval

> 10:00 Uhr

### Orphan Drugs in der Zulassung

*Dr. Frauke Naumann-Winter*

- Kriterien für den Orphan-Status bei initialer Ausweisung und zum Zeitpunkt der Zulassung
- Zusammenarbeit von COMP, PDCO, CAT und CHMP
- Auswirkungen der Commission notice 2 016/C 424/03 auf die Arbeit des COMP
- Sonderformen der Zulassung bei Orphans (conditional approval, exceptional circumstances)

> 11:15 Uhr Kaffeepause

> 11:30 Uhr

### Auflagen aus der Zulassung

*Dr. Valerie Straßmann*

- Regulatorische Auflagen bei der Zulassung - Specific obligations, imposed und required PASS, Annex-II Conditions und Auflagen im Risikomanagementplan
- Mögliche Studiendesigns zur Erfüllung von beauftragten Studien
- "Register" und die EMA Patient Registries Initiative
- Scientific Advice für beauftragte Studien

> 12:30 Uhr Gemeinsames Mittagessen

> 14:00 Uhr

### Orphan Drugs in der AMNOG-Bewertung

*Dr. Yvonne Schmidt*

- Dossierpflicht und festgelegter Zusatznutzen
- Berechnung der 50 Mio-Umsatzgrenze
- Auflagen zur Datenerhebung
  - Verpflichtende anwendungsbegleitende Datenerhebung
  - Die Finanzierung durch die pharmazeutische Industrie
- Reevaluation des Zusatznutzens
  - Reevaluation der Evidenz
  - Anforderung neuer Daten
- Zusammenspiel Zulassungsbehörde und HTA-Agentur - Datenerhebung in Einklang mit den neuen Anforderungen des GSAV

> 15:15 Uhr Kaffeepause

> 15:30 Uhr

### Konsequenzen der kommenden GSAV-Anforderungen für die Orphan-Entwicklungsprogramme

*Dr. Matthias Dormeyer*

> 16:30 Uhr

### Abschlussdiskussion

*alle Referenten*

> 17:00 Uhr Seminarende

Anmeldung unter  
service@forum-institut.de oder  
Fax +49 6221 500-555

## Anmeldeformular

Ja, ich nehme teil am Seminar

Orphan Drug Development  
unter dem GSAV

Ja, ich bin damit einverstanden, dass das FORUM Institut  
mir Informationen zu Veranstaltungen  
 per E-Mail  per Telefon übermitteln darf.  
Meine Einwilligung kann ich jederzeit widerrufen.

Name, Vorname

Position/Abteilung

Firma

Straße

PLZ/Ort/Land

Telefon

E-Mail

Ansprechpartner/-in im Sekretariat

Datum, Unterschrift

## So melden Sie sich an

**Anmelde-Hotline: +49 6221 500-500**  
**Tagungs-Nr. 19 06 234**

**Internet:**  
[www.forum-institut.de](http://www.forum-institut.de)

**Termin/Veranstaltungsort:**  
Mittwoch, 26. Juni 2019 in Berlin  
08:30 Uhr Registrierung; 09:00 - 17:00 Seminar  
Adina Apartment Hotel Berlin Mitte  
Platz vor dem Neuen Tor 6 · 10115 Berlin  
Tel. +49 30 2000 32 0 · Fax +49 30 200 767 599

**Gebühr:**  
€ 1.090,00 (+ gesetzl. MwSt.) inkl. hochwertiger  
Dokumentation (auch zum Download), Zertifikat,  
Arbeitsessen, Erfrischungen und Kaffeepausen.

Wir können Qualität  
Wir sind sehr stolz, dass die PharmaTrain Federation  
unser Qualitätsmanagement als exzellent bewertet  
und uns daher das Prädikat "Pharmatrain Center"  
verliehen hat.

## Fragen & Informationen



Gerne beantworte ich Ihre Fragen  
zu dieser Veranstaltung und  
unserem gesamten Weiterbildungs-  
programm.

**Dr. Henriette Wolf-Klein**  
Bereichsleiterin Healthcare  
Tel. +49 6221 500-680  
[h.wolf-klein@forum-institut.de](mailto:h.wolf-klein@forum-institut.de)

## AGB

Es gelten unsere Allgemeinen Geschäftsbedingungen  
(Stand: 01.01.2016), die wir auf Wunsch jederzeit  
übersenden und die im Internet unter  
[www.forum-institut.de/agb](http://www.forum-institut.de/agb) eingesehen werden können.