

SC1-PM-08-2017: NADİR HASTALIKLAR İÇİN YENİ TEDAVİLER

Kapsam:

- Proje desteği, Avrupa Komisyonu tarafından yetim ilaç olarak adlandırılan maddelerle yapılan, klinik araştırma tasarımında Avrupa İlaç Ajansı (EMA)'nın önerilerini dikkate alan ve açık bir hasta alma stratejisine sahip klinik araştırmalara sağlanacaktır.
- Klinik araştırmalar küçük molekülden gen ve hücre tedavisine kadar geniş bir yelpazede yetim ilaçlarla ilgili yeni müdahaleleri ve/veya var olan ya da bilinen müdahalelerin yeniden konumlandırmasını (repurposing) içerebilir.
- Müdahale, tam proje önerisi için ilan edilen son başvuru tarihinde AB tarafından yetim ilaç olarak onaylı olmak zorundadır.
- Basılı ve ön çalışma niteliğindeki prelinik veya klinik sonuçlarla doğrulanmış kısa bir fizibilite değerlendirmesi ve destek veri de sunulmalıdır.
- Hasta kuruluşları, AB üyesi devletlerdeki sağlık otoritelerini dahil edecek uygun planlar ve etkinlik ya da potansiyel klinik fayda değerlendirmesi ile birlikte sağlık ekonomisi üzerinde etki yapacak ilk göstergeler entegre edilmelidir.
- Klinik araştırmaya ek olarak, proje önerileri prelinik araştırmanın son aşamalarının sınırlı unsurlarını ve/veya proje kapsamındaki klinik araştırmayı tamamlayacak veya katkı sağlayacak potansiyel risklerin deneysel değerlendirmesini kapsayabilir.
- Proje önerilerinin ağırlık merkezinin klinik çalışmalar olduğu açıkça vurgulanmalıdır.
- KOBİ'lerin katılımı teşvik edilmelidir.
- Seçilen proje önerileri Uluslararası Nadir Hastalıklar Araştırma Konsorsiyumu (IRDIRC) hedeflerine katkı sağlamalı, kurallarına ve politikalarına uymalıdır.

Bütçe: 4-6 Milyon EUR

Beklenen Etki:

- AB'nin yetim ilaçlarla ilgili ilaç mevzuatının amaçları doğrultusunda, proje önerileri yeni tedavi olanaklarının ortaya çıkmasında, nadir hastalıkları olan hastalara somut yarar sağlayacak yeni tedavilerin geliştirilmesine katkıda bulunacaktır.
- İyi tasarlanmış klinik araştırmalar ve uygun sayıda hastanın katıldığı çokuluslu, çok merkezli bir araştırmanın sayesinde yetim ilaçların geliştirilmesindeki hızlı ilerleme.
- Yeni tedavi seçeneğinin ekonomik ve halk sağlığı yönünden potansiyel etkilerinin ön değerlendirmesinin geliştirilmesi.
- İlaç geliştirme sürecine dahil olan KOBİ'lerin büyümesine katkı sağlanması.
- Proje önerileri, AB'nin araştırma ve inovasyon faaliyetlerindeki uluslararası işbirliği stratejileri doğrultusunda, IRDIRC hedeflerine katkı sağlayacaktır.

Eylem: Araştırma ve inovasyon