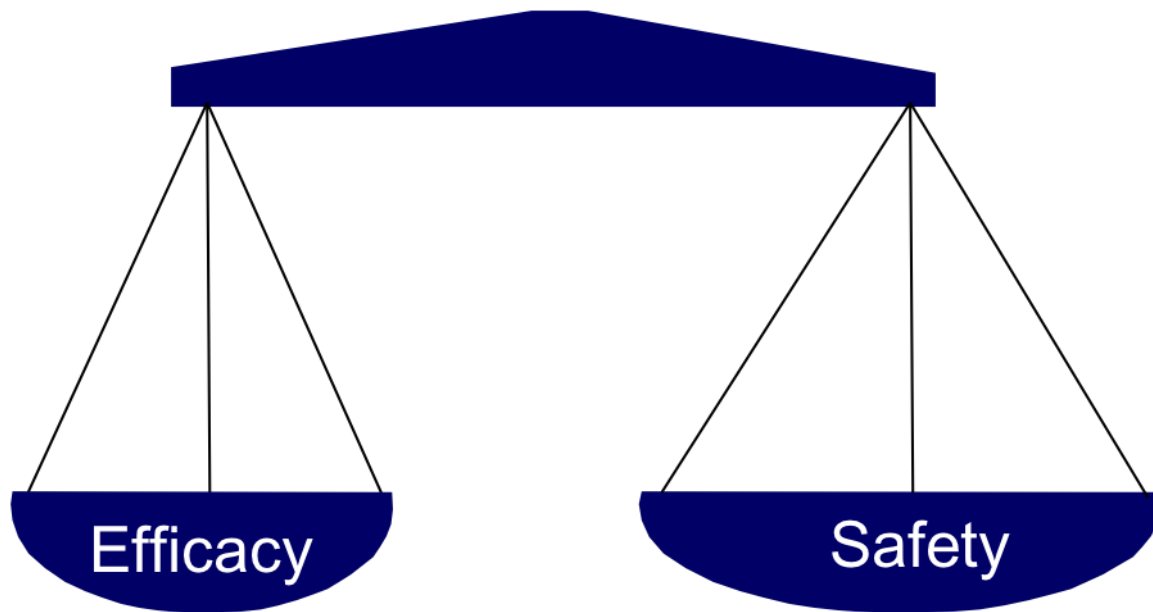


Patient Preferences workshop

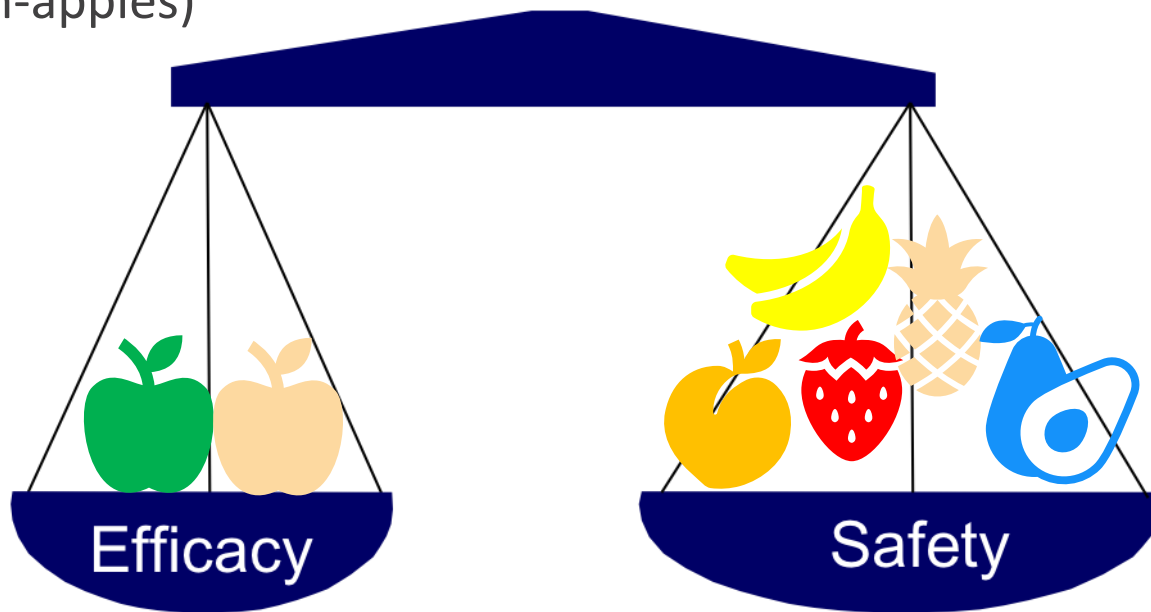
September 5, 2022

Drug Approval 101



Drug Approval 101

- Apples & Oranges (non-apples)



Making Sense of Apples & Oranges

Clairy Polak: 'Je vraagt je af: voor wie heb ik nog betekenis als het niet voor mijn eigen man is?' **V4-5**



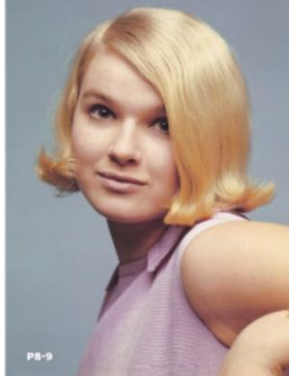
DINSDAG 4 JUNI 2019
VOLKSKRANT.NL

de Volkskrant



Te veel cholesterol in het bloed is gevaarlijk, maar wat is te veel? Met een nieuwe richtlijn moeten nog meer Nederlanders cholesterolverlagers slikken om de kans op een niet-dodelijke hartaanval of beroerte mogelijk iets te verlagen. Vaak met nare

Elegantie met klasse
en een milde ironie
Martine Bijl 1948-2019



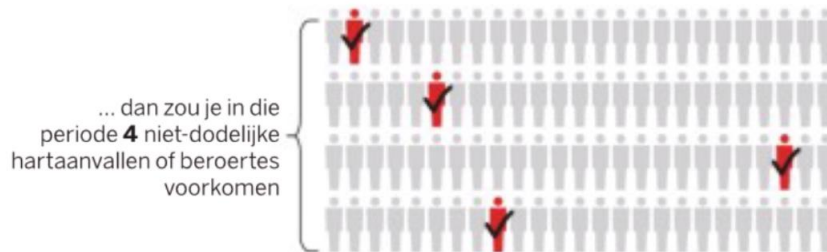
PS-9

De hang naar
overmaat
overstemt
Stockhausen



MAXIMALE CHOLESTEROLWAARDEN GAAN OMLAAG
Nieuwe richtlijn: ingrijpen vanaf waarde 1,8 (voorheen 2,5)

Als 100 patiënten 10 jaar lang behandeld worden volgens nieuwe regels...



... ondertussen hebben **14** van de **100** last van bijwerkingen, zoals spierpijn, gevoel van malaise

040619 © de Volkskrant - bm. Bron: NHG



Making Sense of Apples & Oranges

Clairy Polak: 'Je vraagt je af: voor wie heb ik nog betekenis als het niet voor mijn eigen man is?' **V4-5**



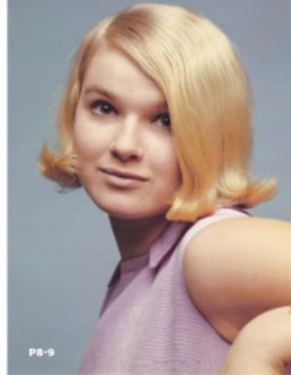
DINSDAG 4 JUNI 2019
VOLKSKRANT.NL

de Volkskrant

Is your cholesterol really too high?

Te veel cholesterol in het bloed is gevaarlijk, maar wat is te veel? Met een nieuwe richtlijn moeten nog meer Nederlanders cholesterolverlagers slikken om de kans op een niet-dodelijke hartaanval of beroerte mogelijk iets te verlagen. Vaak met nare

Elegantie met klasse en een milde ironie
Martine Bijl 1948-2019



De hang naar overmaat overstemt Stockhausen

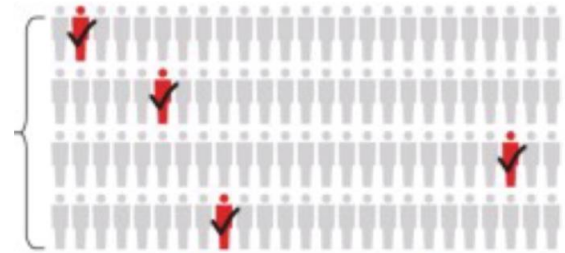


MAXIMAL CHOLESTEROL LEVELS ARE LOWERED

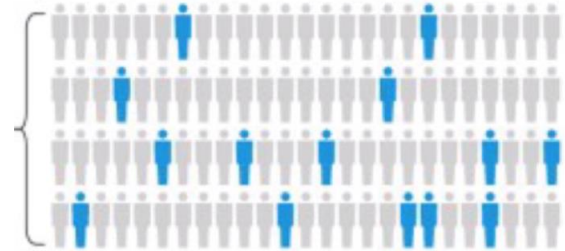
New guideline: intervene from 1.8 mmol/L (previous 2.5)

If you treat 100 patients for 10 year according to the new guidance

...than you would prevent 4 non-lethal MI's or strokes



...while 14 out of 100 experience Adverse Events, such as muscle ache, malaise



040619 © de Volkskrant - bm. Bron: NHG



So, who considers
this B/R balance
positive?

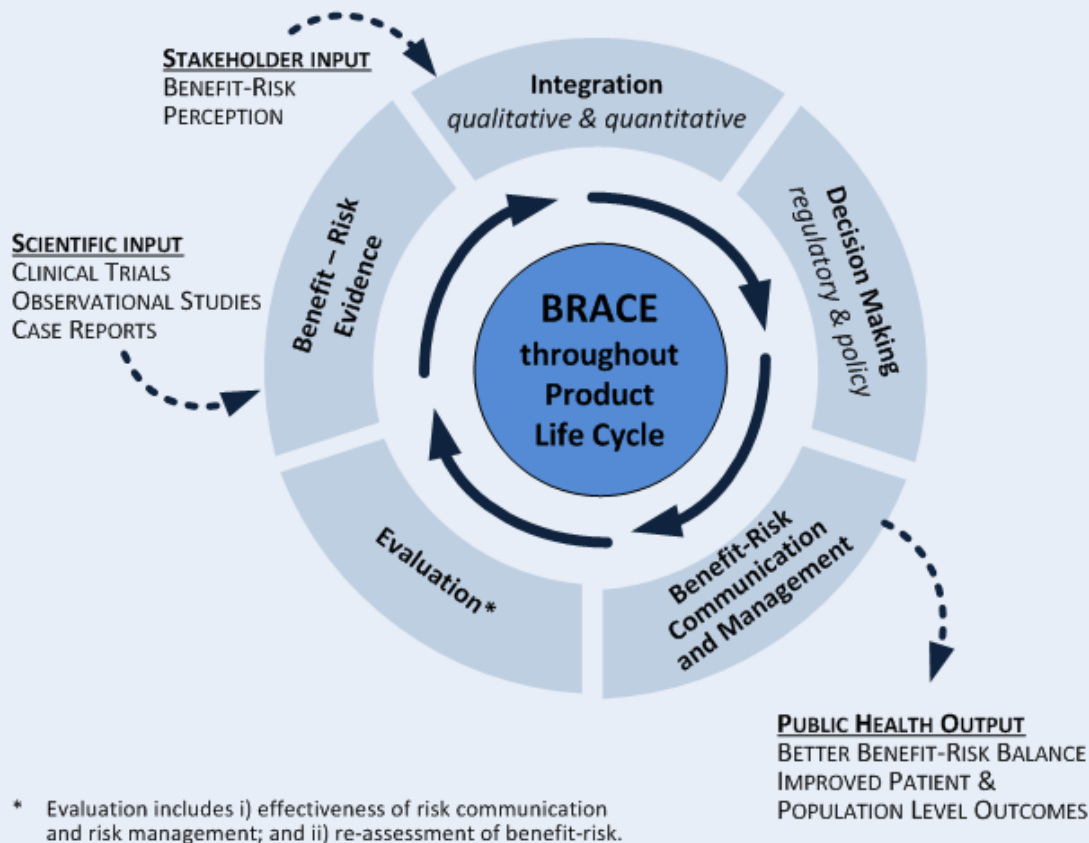
- Raise your hand, if you would approve/prescribe/recommend this 'drug



Iterative process of B/R assessment

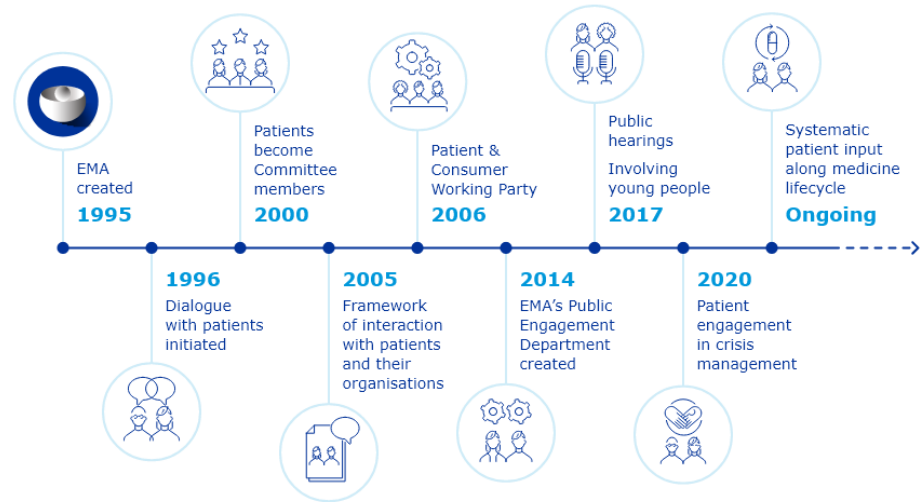
Radawski C., et al. 2015 PDS
DOI: 10.1002/pds.3859

Benefit-Risk Assessment, Communication, and Evaluation (BRACE) throughout the Life Cycle of Medicinal Products & Devices

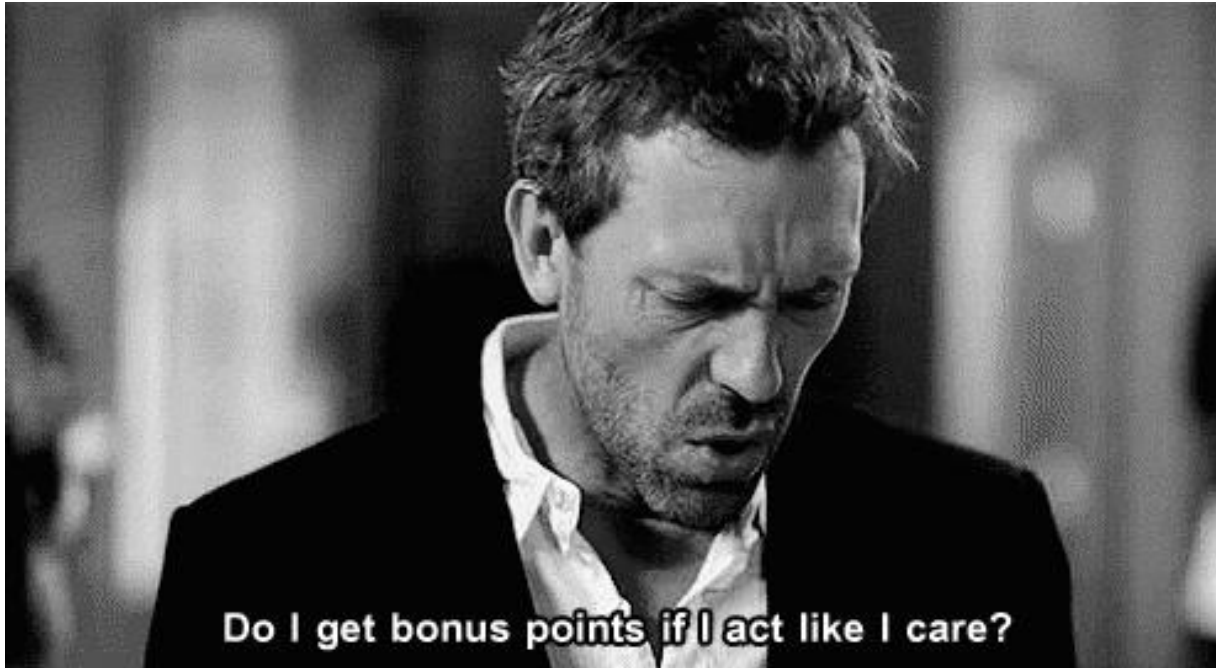


(Today) we focus
at the Patient!

EMA patient involvement



The role of (the) patient (experience data)



Program

PATIENT PREFERENCES:

Towards a More Structural Incorporation in the Regulatory Pathway

TIME	PROGRAM
13:00	WELCOME & REGISTRATION WITH COFFEE AND TEA
13:30	Opening - Peter Mol (UMCG, MEB, EMA, RSNN co-chair)
13:40	Am I just a patient? Cristina Guerrero Paez (Dutch Breast Cancer Society)
14:00	Patient preferences in regulatory decisions and current challenges Francesco Pignatti (EMA)
14:20	Patient participation in rare liver disease research Stan van de Graaf (Amsterdam UMC)
14:40	Industry Perspective on Patient Engagement in Drug Development and Regulatory Decision Making Cathelijne de Gram (Janssen – Global Regulatory Policy & Intelligence Director, EMEA Policy Lead at Janssen)
15:00	The PREFER final recommendations and future research needs Isabelle Huys (KU Leuven, EMA)
15:20	BREAK

TIME	PROGRAM
16:00	Plenary discussion with panel speakers Chaired by Sjaak Bot (Janssen/RSNN co-chair) Panel speakers: <ul style="list-style-type: none">• Cristina Guerrero Paez (Dutch Breast Cancer Society)• Francesco Pignatti (EMA)• Stan van de Graaf (Amsterdam UMC)• Susan Bhatti (Merck)• Hans Hillege (UMCG)
17:25	Pitches – Research on patient preferences: Value and application of qualitative patient preference research in medical product decision-making - Rosanne Janssens (KU Leuven) EMA/EUnetHTA qualification of the IMI PREFER patient preference framework and points to consider for methods selection: key experiences, outcomes, value and implications Liese Barbier (KU Leuven)
17:45	Closing - Peter Mol (UMCG, MEB, EMA, RSNN co-chair)
18:00	DRINKS
18:45	START OF OPTIONAL DINNER