



Vertex von Studienärzten initiierte Studien Programmübersicht

Unser Ziel

Unsere von Studienärzten initiierte Studie (Investigator Initiated Studies, IIS) gewährt die Unterstützung von unabhängigen, von Studienärzten initiierten Forschungsarbeiten und wurde entwickelt, um die Gewinnung wissenschaftlicher Erkenntnisse in Bezug auf Krankheitszustände, Patientengruppen und medizinische Behandlung in Übereinstimmung mit unseren klinischen und nichtklinischen Interessenbereichen voranzutreiben. Wir arbeiten mit führenden Forschern, Ärzten, Experten des öffentlichen Gesundheitswesens und anderen Mitarbeitern, die unsere Vision für die Veränderung des Lebens von Menschen mit schweren Krankheiten, deren Familien und der Gesellschaft teilen.

Förderfähige Forschungsarten

Finanzierung und/oder medikamentöse Unterstützung kann für die folgenden Forschungskategorien möglicherweise verfügbar sein:

- Klinische Forschungsstudien mit KALYDECO® (Ivacaftor), ORKAMBI® (Lumacaftor/Ivacaftor) und Tezacaftor/Ivacaftor
- Beobachtungsstudien, die die Forschung bezüglich Krankheitszustände der zystischen Fibrose unterstützen, z. B. epidemiologische Studien und Endpunktstudien
- Nichtklinische Studien mit Vertex-Verbindungen für *in-vitro*-Untersuchungen oder *in-vivo*-Modelle*

*Anträge für nichtklinische Studien, die ausschließlich Verbindungen betreffen, sollten direkt bei compoundrequests@vrtx.com (zu senden an: compoundrequests@vrtx.com) eingereicht werden

Forschungsprogramme von Interesse

- Zystische Fibrose

Überprüfungskriterien

Folgende Bereiche werden bei der Überprüfung des Antrags berücksichtigt:

- Verfügbarkeit von Unterstützung
- Innovation
- Überlegungen und wissenschaftliche Methoden
- Ethische Erwägungen
- Eignung der Institution und des Hauptprüfers
- Angemessenheit der Unterstützung
- Angleichung an die Vertex-Gesamtstrategien für Forschung und Entwicklung

Um für Unterstützung qualifiziert zu sein, müssen Sie die volle Verantwortung für die Gestaltung, Durchführung und Überwachung Ihrer eigenen Studien übernehmen.

Antragsvorlageverfahren

Sie können sich für das IIS-Programm mittels des Vertex Online-Bewerbungssystems bewerben, und zwar unter:

www.vrtxiisgrants.com

Für die klinische Forschung ist die Bewerbung ein 2-Stufen-Prozess mit einer vorläufigen Konzeptantragstellung, der, wenn sie akzeptiert wird, eine ausführlichere Prüfplan-Vorlage folgt. Nichtklinische Anträge erfordern in der Regel eine einzige Vorlage.

Antragskonzept

Ein Antragskonzept ist eine hochrangige Kurzdarstellung Ihrer Studie. Es soll weder eine komplette Übersicht noch ein Prüfplan sein.

Nichtklinische Forschungsanträge erfordern eine einzige Konzeptantragstellung. Für die klinische Forschung erfordern genehmigte Konzeptanträge nachfolgend die Vorlage eines detaillierten Prüfplans, der dann einer zweiten Runde der Überprüfung unterzogen wird.

Konzeptüberprüfungen werden in der Regel innerhalb von 8 bis 12 Wochen abgeschlossen. Sie werden per E-Mail über die Überprüfungsentscheide benachrichtigt. Nach der Genehmigung eines Prüfplans können Studien nicht initiiert werden, bis eine einvernehmliche Förderungsvereinbarung ausgearbeitet wurde.

Detaillierter Prüfplan

Für klinische Forschungsstudien, wenn ein Konzeptantrag genehmigt wird, ist der nächste Schritt die Vorlage eines vollständigen Prüfplans. Ein Prüfplan ist deutlich detaillierter und besser entworfen, und ist nur für Anträge auf klinische Forschungsprojekte erforderlich.

Bitte beachten Sie, dass ein Prüfplanantrag keine eventuelle Finanzierung oder Materialien garantiert.

Prüfplanüberprüfungen werden in der Regel innerhalb von 60 Tagen abgeschlossen. Sie werden per E-Mail über die Überprüfungsentscheide benachrichtigt. Studien können nicht initiiert werden, bis eine einvernehmliche Förderungsvereinbarung ausgearbeitet wurde.

Studienbudgets

Studienbudgets müssen zum selben Zeitpunkt wie die Konzepteinreichung vorgelegt werden und müssen alle zu erwarteten Studienkosten beinhalten. Alle Budgets werden hinsichtlich Genauigkeit und Angleichung an den üblichen Marktwert überprüft.

Antragsteller nichtklinischer Studien müssen ein umfassendes Studienbudget zum selben Zeitpunkt wie die Konzepteinreichung vorlegen. Diese Budgets müssen das Studienzubehör, eine statistische Analyse, Tierkosten und andere einmalige Kosten enthalten. Institutionelle Gemeinkosten müssen einbezogen werden.

Antragsteller klinischer Studien müssen einen detaillierten Kostenvoranschlag des Studienbudgets zum selben Zeitpunkt wie die Konzepteinreichung vorlegen. Wenn Ihr klinischer Konzeptantrag genehmigt wird, müssen Sie dann ein umfassendes Einzelposten-Studienbudget vorlegen. Bitte stellen Sie sicher, dass Sie Anlaufaufwendungen, Gehalt für Hilfspersonal, Patientenkosten, Laborgebühren und andere Anforderungen einbeziehen. In dem Bemühen, sicherzustellen, dass dies effizient erfolgen kann empfehlen wir, dass Sie mit der bereitgestellten Budgetvorlage auf der linken Seite der Webseite für die Prüfplanvorlage beginnen und Ihre Aktivitäten im Zusammenhang mit dem Prüfplan und institutionellen Kosten entsprechend ändern.

Mit der Einreichung Ihres Budgets bestätigen Sie, dass jeglicher angegebene Prozentsatz der Gemeinkosten mit Ihren institutionellen Vorgaben übereinstimmt. Bitte beachten Sie, dass einige Kosten, z. B. Gebühren für die institutionelle Prüfungskommission (Institutional Review Board, IRB) und das Ethikkomitee (Ethics Committee, EC), Tierkosten usw. als indirekte Studienkosten gelten und den institutionellen Gemeinkosten nicht unterliegen.

Weitere Informationen zu IIS-Budgets stehen in den IIS-Budgetrichtlinien (ISS Budget Guidelines) auf dem IIS-Portal (vrtxiisgrants.com) zur Verfügung.

Überprüfungsverfahren und Vertragsabschluss

Wenn ein nichtklinischer Konzeptantrag genehmigt wird, wird Vertex sich an die Rechtsabteilung oder das Vertragsbüro wenden, das Sie in Ihrem Antrag aufgeführt haben, um Verhandlungen über eine Förderungsvereinbarung zu beginnen. Bitte beachten Sie, dass die Studien nicht initiiert werden können, bis eine einvernehmliche Förderungsvereinbarung ausgearbeitet wurde.

Wenn ein klinischer Konzeptantrag genehmigt wird, werden Sie per E-Mail aufgefordert, sich auf der Vertex IIS-Webseite anzumelden und einen vollständigen Prüfplan einzureichen. Der Prüfplan wird dann einer zweiten Runde der Überprüfung unterzogen. Wenn der Prüfplan eine endgültige Genehmigung durch die IIS-Prüfungskommission erhält, wird Vertex sich an die Rechtsabteilung oder das Vertragsbüro wenden, das Sie in Ihrem Antrag aufgeführt haben, um Verhandlungen über eine Förderungsvereinbarung zu beginnen. Bitte beachten Sie, dass die Studien nicht initiiert werden können, bis eine einvernehmliche Förderungsvereinbarung ausgearbeitet wurde.

Das Forschungsabkommen deckt solche Dinge wie regulatorische Aufgaben, Sicherheitsmeldepflichten, Entschädigung, geistiges Eigentum und Publikationen ab.

Initiierungsanforderungen

Wenn Ihr nichtklinisches Konzept genehmigt wird, wird Vertex vor Beginn der Studie eine vollständig ausgearbeitete Forschungsvereinbarung und gegebenenfalls einen Genehmigungsnachweis des Komitees für die institutionelle Tierpflege und Nutzung (Institutional Animal Care and Use Committee [IACUC]) verlangen.

Wenn Ihr klinischer Prüfplan genehmigt wird, wird Vertex vor Beginn der Studie einen Genehmigungsnachweis der institutionellen Prüfungskommission (Institutional Review Board, IRB)/des Ethikkomitees (Ethics Committee, EC), eine Kopie des von IRB/EC genehmigten endgültigen Prüfplans, eine Genehmigungsbestätigung der Regulierungsbehörde (falls zutreffend) und eine voll ausgeführte Förderungsvereinbarung verlangen.

Regulatorische Aufgaben (klinische Forschung)

Als Sponsor der Studie müssen Sie sicherstellen, dass die Studie in Übereinstimmung mit allen geltenden gesetzlichen Bestimmungen, einschließlich der Einhaltung der Richtlinien der internationalen Konferenz über Harmonisierung (International Conference on Harmonisation, ICH) und der guten klinischen Praxis (Good Clinical Practice, GCP), durchgeführt wird. Sie müssen alle regulatorischen Aufgaben, einschließlich aber nicht beschränkt auf IRB/EC-Zulassungen, Genehmigungen der Regulierungsbehörde und alle damit verbundenen Berichtspflichten gegenüber den Regulierungsbehörden übernehmen.

Wenn eine Studie ein Produkt in einer Weise verwendet, die nicht mit dem genehmigten Produktetikett übereinstimmt, müssen Sie, als Sponsor der Studie, diesbezüglich einen Antrag bei der zuständigen Regulierungsbehörde stellen, z. B. einen Antrag auf ein neues Prüfpräparat (Investigational New Drug, IND) bei der Lebensmittelüberwachung und Arzneimittelbehörde der USA (Food and Drug Administration [FDA]) oder einen Antrag auf eine klinische Studie (Clinical Trial Application, CTA) bei Health Canada. Vertex wird notwendige unterstützende Unterlagen für IND/CTA-Einreichungen in Briefform als Verwendungsnachweis bereitstellen.

Studienaktualisierungen

Alle Studienärzte werden vertraglich dazu verpflichtet, vierteljährliche Aktualisierungen bezüglich des Studienfortschritts zu übermitteln. Dies erfordert, dass der Studienarzt auf konkrete und messbare Weise den aktuellen Status des Prüfplans beschreibt und geplante Veröffentlichungen, aktualisierte Studiengenehmigungen oder beantragte Studienänderungen meldet.

Änderungen des Prüfplans

Alle Änderungen der Prüfpläne müssen Vertex vor der Einreichung bei IRB/EC oder der Regulierungsbehörde vorgelegt und von Vertex genehmigt werden. Unterlagen zu nachfolgenden Genehmigungen seitens IRB/EC sowie regulatorischer Art müssen Vertex vorgelegt werden.

Sicherheitsmeldepflichten (klinische Forschung)

Wenn Ihre Studie die Verwendung eines Vertex-Produktes beinhaltet, werden Sie aufgefordert, den Vertex-Sicherheitsmeldepflichten zu folgen.

Sie müssen jegliches schwerwiegende unerwünschte Ereignis (SUE) an Vertex innerhalb von 24 Stunden nach der ersten Kenntnisnahme melden. SUEs können mittels eines von Vertex zur Verfügung gestellten SUE-Meldeformulars oder eines anderen von Vertex genehmigten Meldeformats gemeldet werden.

SUE-Meldungen werden der globalen Patientensicherheit bei Vertex vorgelegt unter:

globalpatientsafety@vrtx.com

Jeder Gesamtsicherheitsbericht, z. B. Jahresbericht, der jeglicher Gesundheitsbehörde oder Regulierungsbehörde vorgelegt wird, muss auch parallel der globalen Patientensicherheit bei Vertex gemeldet werden.

Alle Sicherheitsmeldeanforderungen werden auch im Vertrag zwischen Vertex und Ihrer Institution dargelegt. Meldungen an Vertex befreien Sie nicht von Ihren Meldepflichten gegenüber Ihrem IRB/EC oder der Regulierungsbehörde. Vertex wird Ihrer Regulierungsbehörde keine UEs/SUEs in Ihrem Namen melden.

Zahlungsinformationen

Zahlungen sind mit der Erreichung von Meilensteinen innerhalb der Studie verbunden, wie in der Förderungsvereinbarung festgelegt. Um eine Zahlung in Verbindung mit einem besonderen Meilenstein zu erhalten, müssen Sie eine Rechnung bei unserer Kreditorenbuchhaltung einreichen. Rechnungen können eingereicht werden per E-Mail an:

Accounts_Payable@vrtx.com
und cc: vrtx_iisgrants@vrtx.com

Arzneimittelversorgung

Vertex wird das Prüfpräparat gemäß den Bedingungen der Förderungsvereinbarung bereitstellen. Das Prüfpräparat darf ausschließlich innerhalb der Studie verwendet werden und darf Dritten nicht zugänglich gemacht werden. Nach Abschluss der Studie verbleibendes Prüfpräparat muss gemäß institutionellen Richtlinien zerstört werden und ein Nachweis der Zerstörung muss Vertex zur Verfügung gestellt werden.

Nichtklinischer Materialversand erfolgt nach dem Eingang einer vollständig ausgearbeiteten Förderungsvereinbarung und entsprechend dem vereinbarten Zeitplan.

Für klinische Studien wird das Prüfpräparat, sofern nicht anders angegeben, in der genehmigten kommerziellen Verpackung geliefert werden. Jegliche studienspezifische Kennzeichnung liegt in Ihrer Verantwortung als Sponsor der Studie. Sichere Lagerung, Arzneimittelverantwortlichkeit usw. sind ebenfalls Ihre Verantwortung als Sponsor der Studie.

Der erste Versand der klinischen Arzneimittel erfolgt nach Eingang einer vollständig ausgearbeiteten Förderungsvereinbarung, der IRB/EC-Genehmigung, einer Kopie des durch IRB/EC genehmigten Prüfplans, Unterlagen bezüglich des IND/CTA-Eingangs (soweit zutreffend) und Überprüfung der Apothekenlizenzierung.

Zusätzlicher Versand der klinischen Arzneimittel wird je nach Patientenaufnahme vorgenommen. Sie können zusätzlichen Versand über die Online-Anwendung und die Webseite des Studienmanagements anfordern.

Abschlussanforderungen

Vertex verlangt einen schriftlichen Abschlussbericht, der die Studienergebnisse am Ende jeder einzelnen von Prüfern initiierten Studie dokumentiert. Details zu dieser Anforderung sind in der Förderungsvereinbarung dargelegt. Zum Abschluss der Studie wird es auch notwendig sein, Vertex einen finanziellen Abgleich von zur Verfügung gestellten Mitteln sowie den Nachweis der Zerstörung aller verbleibenden Prüfpräparate bereitzustellen.

Veröffentlichungen

Vertex verpflichtet sich zu Transparenz der Studiendaten und fördert die Veröffentlichung aller Studienergebnisse. Demzufolge erwarten wir von allen Studienärzten, dass sie die vom internationalen Komitee der Herausgeber medizinischer Fachzeitschriften (International Committee of Medical Journal Editors, ICMJE) dargelegten Leitprinzipien überprüfen und ihrer Registrierung nachkommen sowie die Veröffentlichungspflichten erfüllen, die hier einzusehen sind: <http://www.icmje.org> (<http://www.icmje.org/>) / (<http://www.icmje.org/>)

Wie bereits erwähnt, verlangen wir in unseren Verträgen, dass Manuskripte, Übersichten und Präsentationen im Vorfeld ihrer endgültigen Einreichung zunächst Vertex vorgelegt werden, und zwar mit dem Zweck der Kulanzüberprüfung und dem damit einhergehenden Schutz der Rechte des geistigen Eigentums.

Studienregistrierung auf öffentlichen Webseiten

Vertex ermutigt die Studienärzte oder ihre jeweilige Institution, geeignete Studien auf der FDA ClinicalTrials.gov Datenbank (www.ClinicalTrials.gov) oder einer Studienregister-Webseite in ihrem Land zu posten.

Offenlegung der Finanzen

Vertex kann die mit IIS-Unterstützung verbundene Förderung öffentlich bekannt geben.

Anwendungsunterstützung

Für Fragen zum Vertex IIS-Programm kontaktieren Sie bitte:
vrtx_iisgrants@vrtx.com.