EURÓPSKA
KOMISIA

V Bruseli 31. 8. 2021
COM(2021) 497 final

SPRÁVA KOMISIE EURÓPSKEMU PARLAMENTU A RADE

o skúsenostiach s postupmi pri povoľovaní liekov na humánne použitie a vykonávaní dozoru nad týmito liekmi v súlade s požiadavkami stanovenými v právnych predpisoch EÚ o liekoch na humánne použitie

1. ÚVOD

Komisia musí aspoň každých desať rokov[1] vydať súhrnnú správu o získaných skúsenostiach s fungovaním postupov súvisiacich s liekmi na humánne použitie stanovenými v nariadení (ES) č. 726/2004[2] a v kapitole 4 hlavy III smernice 2001/83/ES[3]. V EÚ existujú tri rôzne postupy pre vydávanie povolenia na uvedenie na trh pre lieky. Táto správa sa týka centralizovaných a decentralizovaných postupov a postupov vzájomného uznávania. Nezahŕňa výhradne vnútroštátne postupy na povoľovanie liekov na humánne použitie v jednotlivých členských štátoch[4].

Táto správa nadväzuje na farmaceutickú stratégiu pre Európu[5] a bude zdrojom informácií pre jej vykonávanie s ohľadom na možné legislatívne a nelegislatívne opatrenia. Zároveň dopĺňa prebiehajúce revízie: i) nariadení EÚ o liekoch na zriedkavé choroby a o liekoch pre deti[6] a ii) nariadenia o systéme poplatkov Európskej agentúry pre lieky[7].

2. REGULAČNÝ RÁMEC A SÚVISLOSTI

Ciele rámca

Ďalej v zarážkach sú uvedené tri hlavné ciele regulačného rámca EÚ pre lieky.

- Prvým cieľom je zaručiť vysokú úroveň ochrany zdravia obyvateľov Európy. Tento cieľ sa napĺňa dvoma hlavnými spôsobmi: v prvom rade snahou poskytovať pacientom kvalitné, bezpečné a účinné lieky čo najrýchlejšie, a to tak inovatívne, ako aj nepatentované lieky, a v druhom rade snahou o zintenzívnenie monitorovania liekov po vydaní povolenia prostredníctvom posilnených postupov monitorovania a dohľadu nad liekmi.
- Druhým cieľom je: i) dokončiť vytvorenie jednotného trhu s liekmi s ohľadom na dôsledky globalizácie a ii) podporiť konkurencieschopnosť európskeho farmaceutického sektora.
- Tretím cieľom je čo najväčšia racionalizácia a zjednodušenie regulačného systému, čím sa zlepší jeho celková konzistentnosť, efektívnosť a transparentnosť pri vykonávaní postupov a rozhodovaní.

---

1 Článok 86 nariadenia (ES) č. 726/2004 a článok 38 ods. 2 smernice 2001/83/ES.

2 Nariadenie Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 726/2004 z 31. marca 2004, ktorým sa stanovujú postupy Spoločenstva pri povoľovaní liekov na humánne použitie a na veterinárne použitie a pri vykonávaní dozoru nad týmito liekmi a ktorým sa zriaďuje Európska agentúra pre lieky (Ú. v. EÚ L 136, 30.4.2004, s. 1).

3 Smernica Európskeho parlamentu a Rady 2001/83/ES zo 6. novembra 2001, ktorou sa ustanovuje zákonník Spoločenstva o humánnych liekoch (Ú. v. ES L 311, 28.11.2001, s. 67).

4 V oddiele 2 sú uvedené podrobnejšie informácie o rôznych postupoch vydávania povolenia na uvedenie na trh pre lieky na humánne použitie v EÚ.

5 COM(2020) 761.

6 Spoločné hodnotenie nariadenia (ES) č. 1901/2006 o liekoch na pediatrické použitie a nariadenia (ES) č. 141/2001 o liekoch na ojedinelé ochorenia [SWD(2020) 163 final].

7 Hodnotenie systému poplatkov Európskej agentúry pre lieky [SWD(2019) 335 final].

Postupy pri vydávaní povolenia na uvedenie lieku na trh

Od vydania prvého farmaceutického právneho predpisu v roku 1965 sa EÚ snažila dosiahnuť dva ústredné ciele: zabezpečiť vysokú úroveň ochrany verejného zdravia a odstrániť prekážky brániace voľnému pohybu liekov. Smernicou Rady 65/65/EHS[8] sa stanovil základný princíp farmaceutických právnych predpisov EÚ, na základe ktorého nemôže byť žiaden liek uvedený na trh EÚ bez toho, aby mu bolo vydané povolenie na uvedenie na trh. Povolenie na uvedenie lieku na trh je založené na troch kritériách: kvalita, bezpečnosť a účinnosť. Toto pomáha zabezpečiť, že lieky, ktoré sa podávajú pacientom, majú primeranú kvalitu a poskytujú priaznivý pomer prínosu a rizika.

Od roku 1965 vzniklo veľké množstvo právnych predpisov. Postupne dochádzalo v celom Európskom hospodárskom priestore (EHP) k harmonizácii požiadaviek na: i) vydávanie povolení na uvedenie na trh a ii) monitorovanie po uvedení na trh. Dva hlavné právne akty, ktorými sa v súčasnosti riadia postupy pri vydávaní povolenia na uvedenie lieku na trh v EHP, sú nariadenie (ES) č. 726/2004 a smernica 2001/83/ES v znení zmien. Existujú štyri rôzne postupy na získanie povolenia na uvedenie na trh: **centralizovaný postup**, **decentralizovaný postup**, **postup vzájomného uznávania** a výhradne **vnútroštátny postup**.

Centralizovaný postup umožňuje žiadateľovi získať jedno povolenie platné v celom EHP[9]. Žiadosť posudzuje vedecký Výbor pre lieky na humánne použitie Európskej agentúry pre lieky (EMA) a povolenie vydáva Európska komisia. Centralizovaný postup pri liekoch na humánne použitie má dva rôzne „rozsahy pôsobnosti“. Prvým je povinný rozsah, ktorý sa vzťahuje na: i) lieky vyvinuté určitými biotechnologickými postupmi; ii) lieky na inovatívnu liečbu; iii) lieky na zriedkavé choroby a iv) nové lieky na špecifické ochorenia, napr. na rakovinu, AIDS a diabetes. Druhým je voliteľný rozsah, ktorý sa vzťahuje napríklad na: i) lieky v iných oblastiach ochorení; ii) lieky obsahujúce novú účinnú látku alebo iii) existujúce lieky predstavujúce významnú inováciu.

Ďalšie postupy umožňujú žiadateľovi získať vnútroštátne povolenie na trhu len jedného členského štátu (výhradne vnútroštátny postup) alebo na trhoch viacerých členských štátov (decentralizovaný postup a postup vzájomného uznávania).

Postup vzájomného uznávania sa uplatňuje v prípade, že žiadateľ už je držiteľom vnútroštátneho povolenia na uvedenie lieku na trh v jednom členskom štáte a má záujem získať vnútroštátne povolenie na uvedenie toho istého lieku na trh aj v iných členských štátoch.

---

8 Smernica Rady 65/65/EHS z 26. januára 1965 o aproximácii ustanovení upravených zákonom, iným právnym predpisom alebo správnym opatrením, ktoré sa týkajú farmaceutických špecialít (Ú. v. ES L 22, 9.2.1965, s. 369).

9 V Nórsku, Lichtenštajnsku a na Islande je v súlade s Dohodou o EHP potrebný vnútroštátny postup/krok, aby povolenie na uvedenie na trh EÚ nadobudlo účinnosť.

Decentralizovaný postup sa uplatňuje pri liekoch, ktoré ešte neboli povolené v žiadnom členskom štáte a žiadateľ má záujem získať vnútroštátne povolenie na uvedenie na trh vo viac ako jednom členskom štáte.

Úvodné postupy pri vydávaní povolenia na uvedenie na trh sú vymedzené dvoma typmi činností.

- **Prvým typom sú činnosti prebiehajúce pred vydaním povolenia**. Tieto činnosti sa vykonávajú pred podaním žiadosti o povolenie na uvedenie na trh. Patrí medzi ne: i) vyhľadanie a získanie vedeckého poradenstva; ii) vyhodnotenie žiadostí o označenia liekov za lieky na ojedinelé ochorenia; iii) dohoda o výskumných pediatrických plánoch a iv) iné formálne a neformálne činnosti na podporu vývoja liekov a prípravu žiadostí o povolenie na uvedenie na trh.
- **Druhým typom sú činnosti prebiehajúce po uvedení na trh**. Patria sem činnosti dohľadu nad liekmi (neustále monitorovanie bezpečnosti), postúpenia a zmeny v povoleniach na uvedenie na trh.

Európska regulačná sieť pre lieky

Komisia, EMA a príslušné vnútroštátne orgány členských štátov vytvorili partnerstvo na účely plnenia si svojich záväzkov súvisiacich s povoľovaním liekov a dozorom nad nimi. Toto partnerstvo sa bežne označuje ako „európska regulačná sieť pre lieky“. Jednotlivé strany majú v tejto sieti rôzne úlohy.

- EMA zodpovedá za vedecké hodnotenia, dozor a monitorovanie bezpečnosti liekov v EÚ. Koordinuje aj vedecké poznatky z celej EÚ.
- Príslušné vnútroštátne orgány zodpovedajú za vydávanie vnútroštátnych povolení na uvedenie liekov na trh a za dozor nad nimi v príslušných členských štátoch. Poskytujú sieti aj odborné znalosti.
- Európska komisia vydáva povolenia na uvedenie na trh EÚ na základe hodnotenia, ktoré vypracuje EMA. Okrem toho monitoruje a dohliada na činnosti siete. Zodpovedá aj za zabezpečenie správneho uplatňovania práva EÚ.

Tieto strany úzko spolupracujú so všetkými zainteresovanými stranami, ktoré sa zúčastňujú na vývoji, výrobe, distribúcii a podávaní liekov. Touto spoluprácou sa usilujú o dosiahnutie cieľov právnych predpisov.

3. ŠTÚDIA NA ZÁKLADE PODKLADOVEJ ANALÝZY

Komisia poverila externého dodávateľa vypracovaním podpornej štúdie pre túto správu.

Štúdia o skúsenostiach získaných z vykonávania postupov pri povoľovaní a monitorovaní liekov na humánne použitie[10]

V štúdii sa posudzoval súčasný systém vydávania povolení na uvedenie na trh z hľadiska miery, do akej sa splnili jeho ciele v období 2010 – 2017. Konkrétnejšie sa v rámci štúdie:

- zozbierali dostupné údaje a dôkazy o vykonávaní centralizovaného postupu, decentralizovaného postupu a postupu vzájomného uznávania,
- vyhodnotila sa účinnosť (dosiahnutie cieľov stanovených regulačným rámcom) a efektívnosť (vzťah medzi použitými zdrojmi a vykonanými zmenami, ktoré zahŕňali aj preskúmanie administratívnej a regulačnej záťaže) zavedených postupov a systému vrátane hodnotenia fungovania európskej regulačnej siete pre lieky,
- zhrnuli sa výsledky analýzy a vyvodili sa užitočné závery na základe skúseností získaných z postupov pri vydávaní povolenia na uvedenie na trh,
- porovnala sa súčasná situácia s výsledkami štúdie z roku 2010 a nadviazalo sa na vykonávanie odporúčaní z roku 2010,
- identifikovali sa potenciálne kroky, ktoré by bolo možno potrebné vykonať na odstránenie bariér a prekážok pre optimálny výkon, a analyzovali sa klady a zápory každej možnosti.

Súčasťou štúdie bola konzultácia s príslušnými zainteresovanými stranami o ich skúsenostiach so systémom a o jeho silných či slabých stránkach. Konzultácie zahŕňali:

- rozhovory so zástupcami EMA, Komisie, Európskeho parlamentu, farmaceutického priemyslu, zastrešujúcich organizácií, skupín zastupujúcich pacientov a organizácií zastupujúcich zdravotníckych pracovníkov,
- účasť na zasadnutiach Výboru pre lieky na humánne použitie a Koordinačnej skupiny pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky,
- písomný dotazník poslaný príslušným vnútroštátnym orgánom, na ktorý sa nadviazalo telefonickým rozhovorom,
- online prieskum, ktorý bol zaslaný odborníkom jednotlivých výborov,
- osem prípadových štúdií členských štátov (Česko, Dánsko, Estónsko, Nemecko, Portugalsko, Španielsko, Švédsko a Taliansko).

Preskúmanie správy o štúdii

Komisia túto štúdiu vypracovanú externým dodávateľom poslala členským štátom, agentúre EMA a Koordinačnej skupine pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky. Na základe prijatých pripomienok sa objasnili nezrovnalosti a nepresnosti v štúdii. Pripomienky však obsahovali aj návrh na

[10] *Po uverejnení vložiť odkaz*.

ďalšie preskúmanie istých možností zvýšenia efektívnosti a na prispôsobenie súčasných postupov a usmernení inováciám a vedeckému pokroku. Požadovalo sa v nich napríklad: i) zvýšenie miery koordinácie medzi príslušnými vnútroštátnymi orgánmi, agentúrou EMA a orgánmi pre hodnotenie zdravotníckych technológií (HTA) a ii) prijatie opatrení na zjednodušenie postupov, aby sa znížila administratívna záťaž. Pripomienky poukázali aj na problémy, ktoré neboli v štúdii primerane preskúmané, ale pri hodnotení farmaceutických právnych predpisov v rámci farmaceutickej stratégie pre Európu sa budú ďalej riešiť.

4. VÝSLEDKY ZO ŠTÚDIE HODNOTENIA POSTUPOV POVOĽOVANIA A MONITOROVANIA

Účinnosť

Údaje zo štúdie externého dodávateľa celkovo ukazujú, že súčasný systém postupov EÚ pri vydávaní povolenia na uvedenie na trh pre lieky na humánne použitie a ich monitorovania je v súlade s cieľmi, ktoré stanovujú právne predpisy. Súčasný systém zaručuje predovšetkým vysokú úroveň ochrany zdravia obyvateľov Európy. Systém takisto vo veľkej miere spĺňa ciele vytvorenia vnútorného trhu s liekmi a regulačného rámca, ktorý podporuje konkurencieschopnosť európskeho farmaceutického sektora.

Rýchly vedecký vývoj prináša nové výzvy, ktorým musí systém čeliť. Stal sa preto komplexnejším, a to vďaka zriadeniu: i) nových výborov prostredníctvom nových právnych predpisov EÚ; ii) podporných pracovných skupín odborníkov a iii) iných doplňujúcich právnych požiadaviek EÚ. Rýchly vedecký vývoj naďalej predstavuje pre systém výzvy a ich riešenie sa navrhne prostredníctvom vykonávania farmaceutickej stratégie pre Európu.

V období 2010 – 2017 sa činnosť siete vo všeobecnosti zintenzívnila. Z tohto dôvodu väčšina príslušných vnútroštátnych orgánov pridelila na činnosti na úrovni EÚ viac zdrojov. Zvýšený príjem agentúry EMA plynúci z poplatkov (+81 %) je zároveň ukazovateľom zvýšenej miery činností, pretože tieto poplatky platia žiadatelia pri podávaní žiadostí o vydanie a udržanie povolenia na uvedenie na trh. Počet žiadostí o vydanie prvotného povolenia na uvedenie na trh v rámci centralizovaného postupu zostal na stabilnej úrovni približne 90 – 100 žiadostí ročne. Tieto nové žiadosti však zväčšujú stále rastúce portfólio povolených výrobkov, ktoré musia EMA, sieť a Komisia riadiť. To viedlo k neustálemu zvyšovaniu počtu postupov po uvedení na trh a s tým spojených činností dozoru a monitorovania. Počet zmien povolení na uvedenie na trh vydaných v rámci centralizovaného postupu sa zvýšil z približne 4 100 v roku 2010 na asi 6 200 v roku 2017 (+51 %)[11].

Okrem toho sa v období 2010 – 2017 výrazne zvýšil počet postupov pre lieky na ojedinelé ochorenia, pediatrické lieky a lieky na inovatívnu liečbu. Počet žiadostí

[11] Na základe verejne dostupných výročných správ EMA na adrese https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes.

o klasifikáciu liekov na inovatívnu liečbu sa zvýšil z 20 žiadostí podaných v roku 2013 na 46 žiadostí podaných v roku 2017 (t. j. nárast o 130 %), zatiaľ čo počet žiadostí týkajúcich sa liekov na ojedinelé ochorenia podaných v rámci jedného roka sa zvýšil zo 174 na 260 (nárast o 49 %) a počet všetkých postupov súvisiacich s výskumnými pediatrickými plánmi sa zvýšil z 318 na 421 (nárast o 32 %).

Počet ukončených postupov vzájomného uznávania a decentralizovaných postupov sa pohyboval medzi 1 640 v roku 2010 a 1 515 v roku 2017. V roku 2014 tento počet klesol na 1 046 postupov[12]. Koordinačná skupina pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky zohráva dôležitú rolu v postupoch vzájomného uznávania a decentralizovaných postupoch tak pred vydaním povolenia na uvedenie na trh, ako aj po jeho vydaní. Podporuje to harmonizáciu, napríklad preskúmaním nesúhlasných stanovísk členských štátov a poskytovaním všeobecných usmernení k postupom. Počet postúpení vo veci vzájomného uznávania a decentralizovaných postupov sa na základe dialógu, spolupráce a harmonizácie v Koordinačnej skupine pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky v období vykonávania štúdie znížil. Počet postúpení Koordinačnej skupine pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky sa znížil zo 17 v roku 2010 na 11 v roku 2017, pričom najvyšší počet postúpení (27) sa vykonal v roku 2012. Počet postúpení Koordinačnej skupiny pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky Výboru pre lieky na humánne použitie sa znížil zo siedmich v roku 2010 na len jeden v roku 2017[12].

Počet žiadostí o vedecké poradenstvo a pomoc s prípravou protokolu, ktoré poslali spoločnosti vyvíjajúce lieky agentúre EMA, sa medzi rokmi 2010 a 2017 zvýšil takmer o 40 %. V štúdii, ktorú vykonal externý dodávateľ, sa uvádza, že EMA zabezpečila celkovo dobre fungujúci postup.

Podpora malých a stredných podnikov (MSP) vzrástla z 366 žiadostí o vedecké poradenstvo poslaných agentúre EMA v roku 2013 na 436 v roku 2017. V uvedenom období tvorili žiadosti MSP stabilne približne 30 % všetkých žiadostí na úrovni EMA.

I keď sa miera činností zvýšila, systém zostal celkovo efektívny. Systém sa spolieha na zdroje a odborné znalosti členských štátov a využíva výhody mechanizmov, ktoré zaručujú vnútornú koordináciu v rámci systému. EMA vykonáva efektívnu koordináciu a vedeckú podporu, pričom organizačnú štruktúru a pracovné metódy prispôsobuje tak, aby zabezpečila zvyšovanie efektívnosti v reakcii na zvýšenú mieru činností.

Po rozšírení EÚ došlo k väčšej harmonizácii a koordinácii medzi členskými štátmi. Čoraz viac členských štátov sa začalo aktívne zúčastňovať na postupoch ako: i) (pomocný) spravodajca; ii) člen nadnárodného hodnotiaceho tímu v centralizovanom

[12] Štatistické údaje Koordinačnej skupiny pre postupy vzájomného uznávania a decentralizované postupy – humánne lieky za rok 2017.

postupe alebo iii) referenčný členský štát v postupoch vzájomného uznávania a decentralizovaných postupoch.

Posilnil sa dohľad nad trhom a monitorovanie bezpečnosti. Jedným z hlavných dôvodov bolo vykonávanie prepracovaných právnych predpisov týkajúcich sa dohľadu nad liekmi v roku 2012, ktoré viedlo k: i) vytvoreniu Výboru pre hodnotenie rizík dohľadu nad liekmi a ku ii) koordinovanému riadeniu signálov. Mechanizmy hlásenia nežiaducich účinkov liekov sa neustále vyvíjajú. Zvlášť významnú rolu tu zohrali pacienti, pričom počet hlásení nežiaducich účinkov liekov predložených pacientmi dosiahol v roku 2017 približne 90 000[13]. Skúmaním nežiaducich účinkov liekov sa zisťujú možné riziká a tento postup umožňuje agentúre EMA, Komisii a príslušným vnútroštátnym orgánom vykonať potrebné regulačné opatrenia. Zisťovanie týchto potenciálnych rizík by sa mohlo ďalej zlepšovať tak, že do postupov by sa začlenili aj údaje zo skutočnej klinickej praxe. To by si vyžadovalo budovanie odborných znalostí na veľkých dátach, farmakoepidemiológii a štatistike.

Efektívnosť

V rámci štúdie sa zistilo, že efektívnosť súčasného systému možno zlepšiť. Ďalej sú uvedené hlavné prvky, ktoré je potrebné zlepšiť a ktoré sa budú podrobnejšie skúmať a brať do úvahy pri vykonávaní farmaceutickej stratégie pre Európu.

Dokonca aj pred pandémiou COVID-19 niektorí odborníci v prieskume v rámci štúdie poukázali na to, že postupy po uvedení na trh nedokážu dostatočne pokryť potreby a zabezpečiť dostatok liekov v prípade núdzového stavu. Odborníci sa vyjadrili, že systém nie je schopný reagovať rýchlo a flexibilne, a to v dôsledku: a) nedostatku právnych predpisov EÚ, ktoré by upravovali núdzové potreby (napr. v prípade nedostatku liekov) a b) komplikovaných koordinačných prístupov medzi členskými štátmi a výbormi, ktoré by mali byť zjednodušené a formalizované.

Nedávno prijaté právne návrhy v rámci balíka opatrení o európskej zdravotnej únii[14] pomôžu riešiť núdzové potreby. V rámci farmaceutickej stratégie pre Európu sa okrem toho[5] preskúma, ako minimalizovať riziko nedostatku liekov prostredníctvom osobitných opatrení, ako sú: i) prísnejšie povinnosti týkajúce sa dodávok; ii) skoršie oznámenia o nedostatočnom množstve a stiahnutí z trhu; iii) väčšia transparentnosť zásob a iv) silnejšie koordinačné mechanizmy EÚ na monitorovanie, riadenie a predchádzanie nedostatkom liekov. Okrem toho sa budú vo farmaceutickej stratégii pre Európu zvažovať opatrenia na zlepšenie dostupnosti liekov v celej EÚ. To bude mať zároveň (preventívny) vplyv na nedostatok liekov.

V štúdii externého dodávateľa sa naznačuje, že okrem postupu vydávania povolení, ktorý sa riadi farmaceutickými právnymi predpismi EÚ, by sa mohla zlepšiť aj

13 Výročná správa EMA za rok 2017.

14 Balík opatrení o európskej zdravotnej únii: COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726, COM(2020) 727.

koordinácia medzi agentúrou EMA, príslušnými vnútroštátnymi orgánmi a orgánmi HTA. To by pomohlo zabezpečiť rýchlejšiu dostupnosť liekov pre pacientov. Od roku 2010 sa zvýšil počet postupov pre spoločné vydávanie vedeckých stanovísk agentúrou EMA/príslušnými vnútroštátnymi orgánmi na jednej strane a orgánmi HTA/orgánmi zodpovednými za určovanie cien liekov/orgánmi zodpovednými za úhradu za lieky na strane druhej. Postupy spoločného vedeckého poradenstva by umožnili navrhnúť klinické skúšania a štúdie na základe údajov zo skutočnej klinickej praxe a na základe toho vytvárať dôkazy s mnohostranným využitím. Tieto dôkazy by sa mohli použiť nielen pri povoľovaní na uvedenie na trh, ale aj pri stanovovaní cien a rozhodovaní o úhradách na vnútroštátnej úrovni. Zabezpečilo by to rýchlejšiu dostupnosť liekov pre pacientov. Intenzívnejšia spolupráca týchto strán takto zvýši efektívnosť systému v prospech pacientov, pretože zlepší ich prístup k liekom.

Regulačný rámec by sa mal zjednodušiť, aby sa znížila administratívna záťaž a neplytvalo sa cenným časom a zdrojmi regulačných orgánov aj celého odvetvia. To by sa mohlo dosiahnuť zjednodušením určitých postupov a procesov. Na zjednodušenie postupov a optimalizáciu rámca vydávania povolení by sa mohla zvážiť spolupráca s inými vyspelými systémami v iných častiach sveta (a inšpirácia nimi).

Zmeny podmienok povolenia na uvedenie na trh zahŕňajú rozličné typy úprav. V rámci zmien sa môže napríklad: i) pridať nová liečebná indikácia lieku; ii) upraviť informácia o kontraindikáciách alebo iii) zmeniť adresa držiteľa povolenia na uvedenie na trh. Príslušné vnútroštátne orgány, EMA a zainteresované strany z tohto odvetvia sa zhodujú v tom, že zmeny vytvárajú pre všetky tri strany vysokú pracovnú záťaž a je potrebné zjednodušenie. Efektívne pracovné postupy sú preto veľmi dôležité.

V štúdii externého dodávateľa sa uvádza aj možnosť ďalšieho zlepšovania koordinácie medzi výbormi EMA. Navrhla sa v nej predovšetkým koordinácia na zlepšenie konzistentnosti výsledkov prostredníctvom lepšieho zosúladenia postupov medzi výbormi pri doručovaní konečných vedeckých stanovísk a odporúčaní EMA. V rámci prebiehajúcej revízie nariadení o liekoch na zriedkavé choroby a liekoch pre deti sa už hodnotia možné riešenia na: i) lepšiu koordináciu práce zainteresovaných výborov v potrebných prípadoch a ii) zjednodušenie a zefektívnenie určitých procesov.

Počet žiadostí o centralizované povolenie predložených malými a strednými podnikmi sa v období vykonávania štúdie (2010 – 2017) zvýšil. Podiel liekov, ktorým nebolo vydané povolenie, je však v prípade žiadostí podaných malým a strednými podnikmi vyšší ako v prípade žiadostí, ktoré podali väčšie spoločnosti. V štúdii externého dodávateľa sa naznačuje, že to môže byť dôsledok zložitosti, nákladov a dostupnosti postupu. MSP majú takisto nedostatok personálu a financií, a preto je pre ne náročnejšie zabezpečiť kvalitu a splniť klinické požiadavky na získanie povolenia na uvedenie na trh. Okrem toho nemusia MSP nevyhnutne samy uvádzať na trh lieky, ktoré vyvinuli. Je to z toho dôvodu, že sľubné lieky v neskoršej fáze vývoja často získajú väčšie farmaceutické spoločnosti.

V období vykonávania štúdie od roku 2010 do roku 2017 sa zaznamenal významný pokrok v podpore poskytnutej malým a stredným podnikom, a to vďaka:

- cielenej podpore a stimulom pre MSP (napr. regulačné usmernenia a stimuly súvisiace s poplatkami), ktoré zaviedla EMA,
- podpore tohto odvetvia – vrátane MSP – príslušnými vnútroštátnymi orgánmi prostredníctvom poskytovania včasného poradenstva.

Ďalšie spôsoby podpory MSP sa preskúmajú ako súčasť farmaceutickej stratégie pre Európu.

Digitálna transformácia mení zdravotnícke odvetvie. Digitálne odborné znalosti a infraštruktúra však ešte nie sú dostatočne dostupné vo všetkých členských štátoch a v celej sieti. Vývoj odborných znalostí a infraštruktúry je potrebný najmä v oblasti veľkých dát a používania umelej inteligencie.

Všetky zainteresované strany sa zhodli, že aj telematické systémy v EÚ zohrávajú dôležitú rolu v prispievaní k efektívnosti systému. Zainteresované strany však zistili aj to, kde je priestor na zlepšenie. Príslušné vnútroštátne orgány poukázali na veľmi komplexný riadiaci systém telematických služieb v EÚ. Niektoré zainteresované strany sa vyjadrili, že telematické systémy EMA a národné systémy nie sú plne kompatibilné a to vedie k duplicite práce. Viaceré zainteresované strany a príslušné vnútroštátne orgány poznamenali, že sieť zaostáva vo vývoji IT systémov na úrovni celej EÚ. Je to dôsledok konkurenčných priorít medzi potrebou zavedenia nových IT systémov vyžadovaných právnymi predpismi a potrebou udržiavania existujúcich systémov s aktuálne dostupnými zdrojmi. Dôsledkom toho môže byť znížená efektívnosť v blízkej budúcnosti, ak to nebude riešené pružne a včas.

Príslušné vnútroštátne orgány, EMA a odborníci uviedli, že systém má ťažkosti s riadením výrobkov, ktoré sa nachádzajú na hranici medzi liekmi a zdravotníckymi pomôckami a nedajú sa jednoznačne zaradiť do jednej z týchto kategórií (t. j. výrobky, pri ktorých nemožno jednoznačne určiť primárny spôsob účinku). Je potrebné zlepšiť koordináciu medzi sektormi, aby sa nebránilo inovácii v EÚ. Problémy spôsobujú aj hranice medzi liekmi a inými kategóriami výrobkov (t. j. látky ľudského pôvodu, biocídne látky a výživové doplnky).

Výbory EMA a pracovné skupiny musia vybudovať lepší prístup k novým oblastiam odborných znalostí, aby sa do vývoja a hodnotenia nových liekov začleňovali najnovšie vedecké a technologické poznatky. To platí najmä v oblastiach, ako sú lieky na inovatívnu liečbu, pri ktorých má budovanie odborných znalostí v príslušných vnútroštátnych orgánoch čoraz väčšiu dôležitosť vzhľadom na veľký objem týchto liekov, na ktorých vývoji sa pracuje.

5. PRVÉ POZNATKY ZÍSKANÉ Z PANDÉMIE COVID-19 V SÚVISLOSTI S POSTUPMI POVOĽOVANIA A MONITOROVANIA

Pandémia COVID-19 zvýraznila tak obmedzenia, ako aj silné stránky európskeho regulačného systému liekov. Ukázala aj možnosti zlepšenia systému.

EÚ vďaka rýchlemu vedeckému poradenstvu a priebežnému skúmaniu vedeckých dôkazov agentúrou EMA hneď potom, ako sa stali dostupnými, zabezpečila rýchle hodnotenie a vydanie povolení na uvedenie na trh pre vakcíny a lieky proti chorobe COVID-19 a urýchlila rozhodovanie Európskej komisie. Diaľkové kontroly a diaľkové klinické skúšania umožnili systému pokračovať v činnosti aj pri obmedzeniach spôsobených pandémiou, no umožnili aj vyskúšať alternatívne spôsoby práce. Z dôvodu núdzovej situácie boli vakcínam proti ochoreniu COVID-19 a iným liekom vydané podmienečné povolenia na uvedenie na trh. Členské štáty poskytli prístup k liekom proti ochoreniu COVID-19 na národnej úrovni už pred vydaním (podmienečného) povolenia na uvedenie na trh prostredníctvom mechanizmov používania zo súcitných dôvodov[15] na základe harmonizovaného odporúčania, ktoré poskytla EMA. To sa vykonalo v prípade remdeziviru pred udelením podmienečného povolenia na uvedenie na trh, dexametazónu a liekov pozostávajúcich z monoklonálnych protilátok proti vírusu SARS-CoV-2[16].

Aby bolo možné efektívne reagovať na núdzové situácie, zaviedla sa regulačná flexibilita týkajúca sa napríklad požiadaviek označovania, harmonogramov a jazykov používaných pri konzultáciách počas procesu rozhodovania. Tieto flexibilné prvky boli vysvetlené vo viacerých usmerňovacích dokumentoch, ktoré vydala Komisia[17], EMA[18] a riaditelia agentúr pre lieky[19].

Pandémia zdôraznila aj dôležitosť včasného dialógu so spoločnosťami vyvíjajúcimi lieky a akademickou obcou, aby mala EMA a odborníci siete EÚ prehľad o vznikajúcich nových technológiách a mohli sa pripraviť na ich preskúmanie, čo uľahčilo rýchle schválenie vakcín a liekov proti ochoreniu COVID-19. Osobitná skupina EMA pre pandémiu COVID-19[20] spojila najlepšie odborné znalosti siete

15 https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/compassionate-use.

16 https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/referral-procedures/article-53-opinions.

17 Napr. vaccinesstrategy_labellingpackaging_en.pdf (europa.eu) a guidance_regulatory_covid19_en.pdf (europa.eu).

18 Usmernenia EMA sa nachádzajú na tomto odkaze: Usmernenia k pandémii COVID-19 pre vývojárov liekov a iné zainteresované strany | Európska agentúra pre lieky (europa.eu).

19 Riaditelia agentúr pre lieky: COVID-19 (hma.eu).

20 Osobitná skupina EMA pre pandémiu COVID-19: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/public-health-threats/coronavirus-disease-covid-19/emas-governance-during-covid-19-pandemic#covid-19-ema-pandemic-task-force-section.

a zabezpečila rýchlu a koordinovanú reakciu na pandemickú situáciu, a to od poskytnutia včasného poradenstva spoločnostiam vyvíjajúcim lieky až po riadenie vedeckých diskusií v kľúčových fázach. Tieto získané poznatky sa už zohľadnili v návrhu balíka opatrení o európskej zdravotnej únii, ktorý má posilniť mandát agentúry EMA[21]. Navrhuje sa v ňom formálne vytvorenie takejto osobitnej skupiny v EMA, ktorá by viedla vedeckú reakciu pri akejkoľvek núdzovej situácii v oblasti verejného zdravia v budúcnosti. Ten istý návrh obsahuje aj mechanizmy krízového riadenia a mechanizmy monitorovania a zmierňovania nedostatku liekov.

Pandémia prispela k extrémne vysokému tlaku na Európsku regulačnú sieť pre lieky a vyčerpala jej zdroje. Prijali sa zmierňujúce opatrenia na zabezpečenie jej ďalšieho fungovania[22]. Členské štáty hlásili nevídané množstvo práce, a to tak v súvislosti s hodnotením, ako aj dohľadom nad vakcínami a liekmi proti ochoreniu COVID-19. Túto výraznú pracovnú záťaž bolo možné krátkodobo zvládnuť bez závažného vplyvu na normálnu činnosť a priniesla aj pozoruhodné výsledky, pokiaľ ide o efektívnu podporu pre spoločnosti vyvíjajúce lieky a vakcíny proti ochoreniu COVID-19 a včasné povolenie na uvedenie na trh štyroch vakcín proti ochoreniu COVID-19. To však vyžaduje ďalšie monitorovanie, aby sa zabezpečilo, že sa podniknú správne kroky na udržanie a posilnenie kapacity siete.

Možnosť začlenenia upravených nástrojov a flexibilných prvkov, ktoré sa použili počas pandémie COVID-19, do normálnej činnosti sa už zvažuje a bude sa ďalej hodnotiť vrátane vplyvu na zdroje v kontexte hodnotenia všeobecných farmaceutických právnych predpisov v rámci farmaceutickej stratégie pre Európu.

6. ZÁVERY

Aktuálna správa a podporná štúdia dokazujú, že EÚ má celkovo dobre fungujúci systém vydávania povolení na uvedenie liekov na trh. Zdôrazňujú sa v nej však aj záležitosti, ktoré by sa mali zlepšiť. Okrem toho sa táto štúdia uskutočnila pred nedávnymi rušivými udalosťami, ktoré mali priamy vplyv na postupy pri vydávaní povolenia na uvedenie na trh a kontinuitu činností, ako boli brexit a pandémia COVID-19. Takto získané skúsenosti by sa mali použiť pri formovaní akéhokoľvek ďalšieho postupu. Niektoré prvé poznatky získané z pandémie COVID-19 sú opísané v oddiele 5.

Vykonávanie farmaceutickej stratégie pre Európu[5], ktorou sa riešia výzvy rámca pre lieky a široká škála problémov počas životného cyklu liekov, poskytuje príležitosť na komplexnú reakciu na uvedené problémy.

---

21 COM(2020) 725.

22 EMRN COVID19 BCP (europa.eu).

Vykonávaním sa bude skúmať niekoľko problémov, napríklad: i) ako riešiť nedostatok liekov; ii) ako zjednodušiť postupy a manažment životného cyklu vrátane tých, ktoré sa týkajú zmien; iii) ako zintenzívniť spoluprácu medzi sektormi a príslušnými stranami počas životného cyklu liekov a iv) ako zabezpečiť relevantné odborné znalosti v sieti. Prínosné to bude aj pre MSP, pretože sa tým zníži administratívna záťaž vo farmaceutickom priemysle a zvýši sa miera spolupráce medzi regulačnými orgánmi pre lieky, orgánmi HTA, orgánmi zodpovednými za určovanie cien liekov a orgánmi zodpovednými za úhradu za lieky.

Niektoré kroky by vyžadovali zmeny v právnych predpisoch, zatiaľ čo iné sa môžu dosiahnuť nelegislatívnymi prostriedkami (napr. pomocou usmernení a zlepšenej koordinácie). Dôkazy o potrebe osobitných legislatívnych opatrení sa zhromaždia prostredníctvom hodnotenia farmaceutických právnych predpisov na základe farmaceutickej stratégie pre Európu.

Vykonávanie farmaceutickej stratégie pre Európu[5] sa uskutoční v úzkej spolupráci s: i) agentúrou EMA; ii) členskými štátmi a príslušnými vnútroštátnymi orgánmi; iii) predstaviteľmi organizácií zastupujúcich pacientov a zdravotníckych pracovníkov; iv) akademickou obcou; v) farmaceutickým priemyslom a vi) ďalšími relevantnými zainteresovanými stranami.