EUROPOS
KOMISIJA

Briuselis, 2021 08 31
COM(2021) 497 final

KOMISIJOS ATASKAITA EUROPOS PARLAMENTUI IR TARYBAI

dėl patirties, įgytos vykdant žmonėms skirtų vaistų rinkodaros leidimų suteikimo ir priežiūros procedūras, vadovaujantis ES teisės aktuose dėl žmonėms skirtų vaistų nustatytais reikalavimais

1. ĮVADAS

Ne rečiau kaip kas 10 metų[1] Komisija turi paskelbti bendrą ataskaitą dėl patirties, įgytos vykdant Reglamente (EB) Nr. 726/2004[2] ir Direktyvos 2001/83/EB[3] III antraštinės dalies 4 skyriuje nustatytas procedūras, susijusias su žmonėms skirtais vaistais. Europos Sąjungoje taikomos įvairios vaistų rinkodaros leidimų suteikimo procedūros. Šioje ataskaitoje aptariamos centralizuotos, decentralizuotos ir savitarpio pripažinimo procedūros. Ataskaita neapima grynai nacionalinės žmonėms skirtų vaistų rinkodaros leidimo suteikimo procedūros, naudojamos vienoje valstybėje narėje[4].

Ši ataskaita susijusi su ES vaistų strategija[5], ir ja bus remiamasi įgyvendinant šią strategiją, taikant galimas teisėkūros ir ne teisėkūros priemones. Taip pat šia ataskaita papildoma šiuo metu vykdoma šių teisės aktų peržiūra: i) ES reglamentų dėl vaistų, kuriais gydomos retosios ligos, ir dėl vaikams skirtų vaistų[6] ir ii) Reglamento dėl Europos vaistų agentūros taikomos mokesčių sistemos[7].

2. REGULIAVIMO SISTEMA IR APLINKYBĖS

Sistemos tikslai

ES vaistų reguliavimo sistema sukurta siekiant toliau pateikiamuose punktuose išdėstytų trijų tikslų.

- Pirmas jos tikslas – užtikrinti Europos žmonių aukšto lygio sveikatos apsaugą. To siekiama dviem pagrindiniais būdais. Visų pirma, šia sistema siekiama kuo greičiau aprūpinti pacientus aukštos kokybės, saugiais ir veiksmingais vaistais – tiek naujoviškais, tiek patento nesaugomais vaistais. Antra, šia sistema siekiama stiprinti vaistų stebėseną po jų leidimo suteikimo, taikant griežtesnes stebėsenos ir farmakologinio budrumo procedūras.
- Antras jos tikslas – i) užbaigti kurti vaistų bendrąją rinką, atsižvelgiant į globalizacijos padarinius, ir kartu ii) didinti Europos farmacijos sektoriaus konkurencingumą.
- Trečias šios sistemos tikslas – racionalizuoti ir kuo labiau supaprastinti reguliavimo sistemą, taip padidinant bendrą procedūrų vykdymo ir sprendimų priėmimo nuoseklumą, veiksmingumą ir skaidrumą.

---

[1] Reglamento (EB) Nr. 726/2004 86 straipsnis ir Direktyvos 2001/83/EB 38 straipsnio 2 dalis.

[2] 2004 m. kovo 31 d. Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 726/2004, nustatantis Bendrijos leidimų dėl žmonėms skirtų ir veterinarinių vaistų išdavimo ir priežiūros tvarką ir įsteigiantis Europos vaistų agentūrą, OL L 136, 2004 4 30, p. 1).

[3] 2001 m. lapkričio 6 d. Europos Parlamento ir Tarybos direktyva 2001/83/EB dėl Bendrijos kodekso, reglamentuojančio žmonėms skirtus vaistus, OL L 311, 2001 11 28, p. 67.

[4] 2 skirsnyje pateikiama išsamesnė informacija apie ES taikomas skirtingas žmonėms skirtų vaistų rinkodaros leidimų suteikimo procedūras.

[5] COM(2020) 761.

[6] Reglamento (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų ir Reglamento (EB) Nr. 141/2001 dėl retųjų vaistų bendras vertinimas (SWD(2020) 163 *final*).

[7] Europos vaistų agentūros taikomos mokesčių sistemos vertinimas (SWD(2019) 335 *final*).

Rinkodaros leidimų suteikimo procedūros

Nuo pirmo ES teisės akto, kuriuo reglamentuojami vaistai, priėmimo 1965 m. ES siekė dviejų kompleksinių tikslų – užtikrinti aukšto lygio visuomenės sveikatos apsaugą ir pašalinti laisvo vaistų judėjimo kliūtis. Tarybos direktyvoje 65/65/EEB[8] įtvirtintas pagrindinis ES farmacijos srities teisės aktų principas, kad nė vieno vaisto negalima pateikti ES rinkai, jeigu nesuteiktas jo rinkodaros leidimas. Vaistų rinkodaros leidimai suteikiami remiantis trimis pagrindiniais kriterijais: kokybe, saugumu ir veiksmingumu. Tai padeda užtikrinti, kad pacientams skiriami vaistai būtų tinkamos kokybės, o jų naudos ir rizikos santykis būtų teigiamas.

Nuo 1965 m. parengta labai daug teisės aktų. Europos ekonominėje erdvėje suderinama vis daugiau reikalavimų, susijusių su: i) rinkodaros leidimų suteikimu ir ii) stebėsena po vaisto pateikimo rinkai. Du pagrindiniai teisės aktai, kuriais šiuo metu reglamentuojamos vaistų rinkodaros leidimų suteikimo procedūros Europos ekonominėje erdvėje (EEE), – Reglamentas (EB) Nr. 726/2004 ir Direktyva 2001/83/EB su pakeitimais. Rinkodaros leidimą galima gauti taikant keturias skirtingas procedūras: **centralizuotą procedūrą**; **decentralizuotą procedūrą**; **savitarpio pripažinimo procedūrą**; ir grynai **nacionalinę procedūrą**.

Centralizuota procedūra suteikia galimybę pareiškėjui gauti vieną visoje EEE galiojantį leidimą[9]. Paraišką vertina Europos vaistų agentūros (EMA) mokslinis Žmonėms skirtų vaistų komitetas (CHMP), o rinkodaros leidimą suteikia Europos Komisija. Žmonėms skirtiems vaistams centralizuota procedūra taikoma esant tam tikroms aplinkybėms, pagal kurias skiriamos dvi tokios procedūros taikymo sritys. Pirmoji taikymo sritis apima vaistus, kuriems ši procedūra yra privaloma, t. y.: i) vaistus, kurie kuriami naudojant tam tikrus biotechnologinius procesus; ii) pažangiosios terapijos vaistus; iii) vaistus retosioms ligoms gydyti ir iv) naujus vaistus nuo konkrečių ligų, pvz., vėžio, AIDS ir diabeto. Antroji taikymo sritis apima vaistus, kuriems ši procedūra neprivaloma, pvz.: i) vaistus, kuriais gydomos kitoms sritims priskiriamos ligos; ii) vaistus, kurių sudėtyje yra naujos veikliosios medžiagos, arba iii) rinkoje esančius vaistus, kai daromas kažkoks su jais susijęs pakeitimas ir tai yra svarbi naujovė.

Kitos procedūros leidžia pareiškėjui gauti nacionalinį rinkodaros leidimą tik vienos valstybės narės rinkoje (grynai nacionalinė procedūra) arba kelių valstybių narių rinkose (decentralizuota procedūra ir savitarpio pripažinimo procedūra).

Savitarpio pripažinimo procedūra taikoma, kai pareiškėjas jau turi vienoje valstybėje narėje suteiktą nacionalinį vaisto rinkodaros leidimą ir nori gauti to paties vaisto rinkodaros leidimą kitose valstybėse narėse.

[8]1965 m. sausio 26 d. Tarybos direktyva 65/65/EEB dėl įstatymais ir kitais teisės aktais priimtų nuostatų, susijusių su patentuotais vaistais, suderinimo, OL 22, 1965 2 9, p. 369.

[9]Vadovaujantis EEE susitarimu, Norvegijoje, Islandijoje ir Lichtenšteine būtina atlikti atitinkamą nacionalinę procedūrą, kad ten galiotų ES rinkodaros leidimas.

Decentralizuota procedūra taikoma tiems vaistams, kurių leidimas dar nesuteiktas nė vienoje valstybėje narėje, kai pareiškėjas nori gauti nacionalinį rinkodaros leidimą daugiau kaip vienoje valstybėje narėje.

Su pirminio rinkodaros leidimo suteikimo procedūromis susijusios dvi toliau pateikiamuose punktuose išdėstytų veiksmų grupės.

- **Pirma veiksmų grupė – tai veiksmai prieš suteikiant rinkodaros leidimą.** Šie veiksmai atliekami prieš pateikiant rinkodaros leidimo paraišką. Jie apima: i) kreipimąsi dėl mokslinių konsultacijų ir pačias mokslines konsultacijas; ii) paraiškų dėl vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai vertinimą; iii) susitarimą dėl pediatrinių tyrimų planų ir iv) kitus oficialius ir neoficialius veiksmus, kuriais siekiama padėti kurti vaistus ir rengti rinkodaros leidimo paraiškas.
- **Antra veiksmų grupė – tai veiksmai po vaisto pateikimo rinkai.** Jie apima farmakologinio budrumo veiklą (nepertraukiamą saugumo stebėseną), kreipimosi procedūras ir rinkodaros leidimo sąlygų keitimą.

Europos vaistų reguliavimo tinklas

Vykdydamos su vaistų leidimais ir priežiūra susijusias savo pareigas, Komisija, EMA ir valstybių narių nacionalinės kompetentingos institucijos užmezgė partnerystės ryšius. Ši partnerystė paprastai vadinama Europos vaistų reguliavimo tinklu. Šiame tinkle jo nariai atlieka toliau nurodytas skirtingas funkcijas.

- EMA yra atsakinga už vaistų mokslinį vertinimą, priežiūrą ir saugumo stebėseną ES. EMA taip pat koordinuoja ekspertų iš įvairių ES valstybių narių teikiamas mokslines konsultacijas.
- Nacionalinės kompetentingos institucijos atsakingos už nacionalinių rinkodaros leidimų suteikimą ir vaistų priežiūrą atitinkamose valstybėse narėse. Taip pat jos pateikia tinklui ekspertų išvadas ir rekomendacijas.
- Europos vaistų agentūrai atlikus vertinimą, Europos Komisija suteikia ES rinkodaros leidimus. Taip pat Komisija stebi ir kontroliuoja tinklo veiklą. Be to, ji užtikrina, kad būtų tinkamai taikoma ES teisė.

Tinklo nariai glaudžiai bendradarbiauja su visais suinteresuotaisiais subjektais, kurie dalyvauja kuriant, gaminant, platinant vaistus ir juos naudojant pacientų gydyme. Šiuo bendradarbiavimu siekiama užtikrinti, kad būtų įgyvendinami teisės aktuose nustatyti tikslai.

3. BENDRŲJŲ APLINKYBIŲ TYRIMAS

Komisija pavedė išorės rangovui atlikti tyrimą, kuriuo būtų galima pagrįsti šią ataskaitą.

Vykdant žmonėms skirtų vaistų leidimų suteikimo ir stebėsenos procedūras įgytos patirties tyrimas[10]

Šiuo tyrimu buvo siekiama įvertinta, kiek 2010–2017 m. pavyko įgyvendinti nustatytus tikslus, taikant dabartinę rinkodaros leidimų sistemą. Konkrečiau, atliekant šį tyrimą:

- surinkti turimi duomenys ir įrodymai, susiję su centralizuotos, decentralizuotos ir savitarpio pripažinimo procedūrų taikymu;
- vertintas procedūrų ir taikomos sistemos veiksmingumas (ar pasiekti atitinkama reguliavimo sistema nustatyti tikslai) ir efektyvumas (naudojamų išteklių ir padarytų pakeitimų santykio vertinimas, įskaitant administracinės ir reguliavimo naštos analizę), taip pat įvertinta, kaip veikia Europos vaistų reguliavimo tinklas;
- apibendrinti analizės rezultatai ir padarytos naudingos išvados dėl patirties, įgytos taikant rinkodaros leidimų procedūras;
- dabartinė padėtis palyginta su 2010 m. tyrimo išvadomis ir analizuota, ar buvo įgyvendintos 2010 m. pateiktos rekomendacijos;
- nustatyti galimų veiksmų, kurių gali reikėtų imtis siekiant pašalinti esamas kliūtis ir veiksnius, trukdančius pasiekti optimalių veiklos rezultatų, variantai ir išanalizuoti kiekvieno varianto privalumai ir trūkumai.

Atliekant šį tyrimą, buvo konsultuojamasi su atitinkamais suinteresuotaisiais subjektais dėl jų patirties naudojantis šia sistema ir dėl jos stipriųjų ir silpnųjų pusių. Konsultuojantis vykdyta ši veikla:

- surengti pokalbiai su EMA, Komisijos, Europos Parlamento, farmacijos pramonės, skėtinių organizacijų, pacientų grupių ir sveikatos priežiūros specialistų organizacijų atstovais;
- dalyvauta CHMP ir Žmonėms skirtų vaistų savitarpio pripažinimo ir decentralizuotos procedūros koordinavimo grupės posėdžiuose (CMDh);
- nacionalinėms kompetentingoms institucijoms nusiųstas raštu parengtas klausimynas, vėliau atliktos apklausos telefonu;
- komitetų ekspertams nusiųsta internetinė apklausa;
- atlikti aštuonių valstybių narių (Čekijos, Danijos, Estijos, Ispanijos, Italijos, Portugalijos, Švedijos ir Vokietijos) pavienių atvejų tyrimai.

Tyrimo ataskaitos peržiūra

Komisija nusiuntė šį rangovo atliktą tyrimą valstybėms narėms, EMA ir CMDh. Atsižvelgiant į gautas pastabas, buvo pataisyti tyrime pastebėti neatitikimai ir netikslumai. Tačiau teikiant pastabas taip pat buvo pasiūlyta išsamiau ištirti būdus, kaip būtų galima padidinti procedūrų efektyvumą, ir pritaikyti dabartines procedūras ir gaires, atsižvelgiant į naujoves ir mokslo pažangą. Pavyzdžiui, pastabose buvo

[10] *Paskelbus įterpti nuorodą*.

raginama: i) geriau koordinuoti nacionalinių kompetentingų institucijų, EMA ir sveikatos technologijų vertinimo (STV) įstaigų veiksmus, taip pat ii) racionalizuoti procedūras, kad sumažėtų administracinė našta. Pastabose taip pat buvo atkreiptas dėmesys į klausimus, kurie buvo nepakankamai išsamiai ištirti atliekant šį tyrimą, bet kurie bus išsamiau aptariami vertinant farmacijos srities teisės aktus, įgyvendinant ES vaistų strategiją.

4. LEIDIMŲ SUTEIKIMO IR STEBĖSENOS PROCEDŪRŲ VERTINIMO TYRIMO REZULTATAI

Veiksmingumas

Apskritai iš rangovo atlikto tyrimo duomenų matyti, kad dabartinė ES žmonėms skirtų vaistų rinkodaros leidimų suteikimo ir stebėsenos procedūrų sistema atitinka teisės aktuose nustatytus tikslus. Visų pirma, dabartinė sistema užtikrina Europos žmonių aukšto lygio sveikatos apsaugą. Taikant šią sistemą taip pat iš esmės pasiekti tikslai užbaigti kurti vaistų vidaus rinką ir sukurti reguliavimo sistemą, kuri padėtų didinti Europos farmacijos sektoriaus konkurencingumą.

Dėl sparčios mokslo pažangos taikant šią sistemą iškilo tam tikrų sunkumų. Todėl, i) įsteigus naujus komitetus, numatytus priimtuose naujuose ES teisės aktuose, taip pat ii) įsteigus pagalbines ekspertų darbo grupes ir iii) nustačius kitus papildomus ES teisinius reikalavimus, ši sistema tapo sudėtingesnė. Dėl sparčios mokslo pažangos toliau kyla sunkumų taikant šią sistemą, o kaip pašalinti šiuos sunkumus, bus pasiūlyta įgyvendinant ES vaistų strategiją.

Apskritai 2010–2017 m. tinklo veiklos apimtis padidėjo. Dėl to dauguma nacionalinių kompetentingų institucijų skyrė daugiau išteklių ES lygmens veiklai. Padidėjusios (+81 proc.) EMA pajamos iš renkamų mokesčių taip pat rodo, kad padidėjo šios agentūros veiklos apimtis, atsižvelgiant į tai, kad pareiškėjai moka mokesčius už tai, kad galėtų pateikti paraiškas, ir už tai, kad toliau galiotų jiems suteikti rinkodaros leidimai. Paraiškų gauti pirminį rinkodaros leidimą pagal decentralizuotą procedūrą skaičius iš esmės nepasikeitė, jų pateikta po maždaug 90–100 per metus. Visgi dėl šių naujų paraiškų dar labiau didėja nuolat augantis vaistų, rinkodaros leidimai buvo suteikti, portfelis, kurį EMA, tinklas ir Komisija turi valdyti. Tai lėmė nepertraukiamą procedūrų po pateikimo rinkai skaičiaus ir susijusių priežiūros bei stebėsenos veiklos apimties didėjimą. Rinkodaros leidimų sąlygų pakeitimų, kuriuos leista padaryti pagal decentralizuotą procedūrą, skaičius padidėjo nuo maždaug 4 100 2010 m. iki maždaug 6 200 2017 m. (+51 proc.)[11].

Be to, 2010–2017 m. gerokai padaugėjo procedūrų, susijusių su retaisiais, vaikams skirtais ir pažangiosios terapijos vaistais. Prašymų priskirti vaistą pažangiosios terapijos vaistų kategorijai padaugėjo nuo 20 prašymų, pateiktų 2013 m., iki 46 (2017 m., t. y.

[11] Remiantis viešai skelbiamomis EMA metinėmis ataskaitomis, https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes.

130 proc.), kasmet pateikiamas paraiškų priskirti vaistą retųjų vaistų kategorijai skaičius padidėjo nuo 174 iki 260 (49 proc.), o visų su pediatrinių tyrimų planais susijusių procedūrų padaugėjo nuo 318 iki 421 (32 proc.).

Užbaigtų savitarpio pripažinimo ir decentralizuotų procedūrų skaičius svyravo nuo 1 640 procedūrų 2010 m. iki 1 515 procedūrų 2017 m. 2014 m. šis skaičius smuktelėjo iki 1 046 procedūrų[12] CMDh atlieka svarbų vaidmenį vykdant savitarpio pripažinimo ir decentralizuotas procedūras tiek prieš, tiek po vaisto rinkodaros leidimo suteikimo. CMDh skatina suderinti įvairius aspektus, pvz., nagrinėdama valstybių narių nesutarimus ir teikdama bendras rekomendacijas dėl procedūrų. Tiriamuoju laikotarpiu kreipimųsi dėl savitarpio pripažinimo ir decentralizuotų procedūrų ilgainiui sumažėjo dėl dialogo, bendradarbiavimo ir įvairių aspektų derinimo CMDh. Kreipimųsi į CMDh skaičius sumažėjo nuo 17-os 2010 m. iki 11-os 2017 m.; daugiausia tokių kreipimųsi (27) užregistruota 2012 m. CMDh kreipimųsi į CHMP skaičius sumažėjo nuo septynių 2010 m. iki vos vieno 2017 m.[12]

2010–2017 m. vaistų kūrėjų kreipimųsi į EMA dėl mokslinių konsultacijų ir pagalbos rengiant protokolus padaugėjo daugiau kaip 40 proc. Rangovo atliktame tyrime pripažinta, kad iš esmės EMA užtikrino tinkamą viso proceso veikimą.

Parama mažosioms ir vidutinėms įmonėms (MVĮ) padidėjo nuo 366 mokslinių konsultacijų prašymų, pateiktų EMA 2013 m., iki 436 – 2017 m. Tuo laikotarpiu MVĮ pateikti prašymai nuolat sudarė maždaug 30 proc. visų EMA lygmeniu pateikiamų prašymų.

Nors veiklos apimtis padidėjo, iš esmės sistema išliko tokia pat veiksminga. Šios sistemos veikimas grindžiamas iš valstybių narių gaunamais ištekliais ir ekspertinėmis žiniomis, taip pat mechanizmais, kuriais užtikrinamas procesų koordinavimas sistemos viduje. EMA atlieka veiksmingo koordinavimo ir mokslinės paramos funkciją, pritaikydama organizacinę struktūrą ir darbo metodus taip, kad, padidėjus veiklos apimčiai, padidėtų darbo efektyvumas.

Europos Sąjungai išsiplėtus, valstybės narės daugiau derina ir koordinuoja savo veiksmus. Vis daugiau valstybių narių dalyvaudamos procedūrose pradėjo imtis aktyvaus vaidmens, i) kaip pranešėjos, ii) kaip tarptautinės vertinimo grupės, dalyvaujančios centralizuotoje procedūroje, narės arba iii) kaip referencinės valstybės narės, dalyvaujančios savitarpio pripažinimo ir decentralizuotose procedūrose.

Sustiprinta rinkos priežiūra ir saugumo stebėsena. Viena iš pagrindinių tokių pokyčių priežasčių buvo 2012 m. įgyvendinti peržiūrėti farmakologinio budrumo srities teisės aktai, dėl kurių i) buvo įsteigtas Farmakologinio budrumo rizikos vertinimo komitetas ir ii) pradėta koordinuotai valdyti su vaistais susijusius pavojaus signalus. Nepertraukiamai buvo kuriami pranešimo apie nepageidaujamas reakcijas mechanizmai. Šiuo klausimu itin svarbų vaidmenį atliko pacientai, kurie 2017 m. pateikė maždaug

[12] 2017 m. CMDh statistika.

90 000 pranešimų apie nepageidaujamas reakcijas[13]. Peržiūrint nepageidaujamas reakcijas, nustatomi galimi pavojai, ir ši procedūra suteikia galimybę EMA, Komisijai ir nacionalinėms institucijoms imtis būtinų reguliavimo veiksmų. Šių galimų pavojų nustatymo procesą būtų galima dar labiau patobulinti, į procedūras įtraukiant tikruosius duomenis. Tuo tikslu ekspertinės žinios turėtų būti grindžiamos dideliais duomenų kiekiais, farmakoepidemiologiniais duomenimis ir statistika.

Efektyvumas

Atlikus tyrimą, prieita prie išvados, kad galima padidinti dabartinės sistemos efektyvumą. Pagrindiniai elementai, kuriuos galima tobulinti, išdėstyti toliau ir jie bus išsamiau analizuojami ir aptariami įgyvendinant ES vaistų strategiją.

Dar iki prasidedant COVID-19 pandemijai, kai kurie ekspertai, dalyvavę šio tyrimo apklausoje, nurodė, kad esamų pajėgumų nepakaktų patenkinti ekstremaliosios situacijos atveju atsiradusius poreikius ir spręsti vaistų stygiaus klausimą taikant procedūras po pateikimo rinkai. Ekspertai teigė, kad ši sistema nepajėgi greitai ir lanksčiai reaguoti, nes a) nėra ES teisės aktų, kurie apimtų ekstremaliosios situacijos atveju atsirandančius poreikius (pvz., vaistų stygių), o b) valstybių narių ir komitetų tarpusavio veiksmų koordinavimo metodai yra pernelyg sudėtingi, ir juos reikėtų racionalizuoti bei formalizuoti.

Neseniai priimti Europos sveikatos sąjungos srities dokumentų rinkinyje numatyti pasiūlymai dėl teisės aktų[14] padės spręsti ekstremaliosios situacijos atveju atsiradusių poreikių klausimą. Be to, ES vaistų strategijoje[5] bus analizuojama, kaip kuo labiau sumažinti vaistų stygiaus pavojų taikant konkrečias priemones, pvz., i) nustatant griežtesnius tiekimo įsipareigojimus, ii) numatant galimybę anksčiau pranešti apie stygių ir vaistų pašalinimą iš rinkos, iii) užtikrinant didesnį atsargų skaidrumą ir iv) taikant patikimesnius ES koordinavimo mechanizmus, suteikiančius galimybę stebėti, valdyti vaistų stygių ir jo išvengti. Be to, ES vaistų strategijoje bus aptartos priemonės, kuriomis būtų galima gerinti vaistų prieinamumą visoje ES. Šie veiksmai taip pat turės (prevencinį) poveikį vaistų stygiui.

Remiantis rangovo atlikto tyrimo išvadomis, be rinkodaros leidimų suteikimo proceso, kuris reglamentuojamas ES farmacijos srities teisės aktais, taip pat būtų galima tobulinti EMA, nacionalinių kompetentingų institucijų ir STV įstaigų veiksmų koordinavimą. Tai padėtų užtikrinti, kad pacientai galėtų greičiau gauti vaistų. Nuo 2010 m. padaugėjo procedūrų, kurių metu EMA ir nacionalinės kompetentingos institucijos teikia mokslines konsultacijas kartu su STV įstaigomis/kainodaros institucijomis/kompensavimo institucijomis. Bendros mokslinių konsultacijų procedūros suteiktų galimybę suplanuoti klinikinius tyrimus ir tikrųjų duomenų tyrimus

[13] EMA 2017 m. metinė ataskaita.

[14] Europos sveikatos sąjungos srities dokumentų rinkinys: COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726, COM(2020) 727.

taip, kad gautus duomenis būtų galima panaudoti daugiau nei vienu tikslu. Remiantis šiais duomenimis būtų galima ne tik suteikti rinkodaros leidimus, bet ir priimti sprendimus dėl kainodaros ir kompensavimo nacionaliniu lygmeniu. Tai užtikrintų galimybę pacientams greičiau gauti vaistų. Taigi, dėl veiksmingesnio šių dalyvių bendradarbiavimo sistema bus efektyvesnė pacientų labui, nes pagerės jų galimybės gauti vaistų.

Siekiant sumažinti administracinę naštą ir sutaupyti tiek reguliavimo institucijų, tiek pramonės atstovų brangų laiką ir pajėgumus, reikėtų supaprastinti reguliavimo sistemą. Šį tikslą būtų galima pasiekti racionalizuojant kai kurias procedūras ir procesus. Siekiant racionalizuoti rinkodaros leidimų procedūras ir optimizuoti leidimų sistemą, būtų galima apsvarstyti galimybę bendradarbiauti su subjektais, valdančiais kitas visapusiškai išplėtotas sistemas kitose pasaulio dalyse, ir iš jų pasisemti įkvėpimo.

Kai keičiamos rinkodaros leidimų sąlygos, atliekami labai skirtingi pakeitimai. Pavyzdžiui, keičiant rinkodaros leidimų sąlygas, i) vaisto terapinių indikacijų sąrašas gali būti papildomas nauja indikacija, ii) gali būti koreguojama informacija apie kontraindikacijas arba iii) keičiamas rinkodaros leidimo turėtojo adresas. Nacionalinės kompetentingos institucijos, EMA ir suinteresuotieji pramonės sektoriaus subjektai sutaria, kad dėl rinkodaros leidimų sąlygų pakeitimų visoms trims šalims tenka didelis darbo krūvis, todėl būtina supaprastinti šią procedūrą. Šiuo požiūriu labai svarbūs efektyvūs veiklos procesai.

Rangovo atliktame tyrime taip pat iškelta galimybė toliau gerinti skirtingų EMA komitetų veiksmų koordinavimą. Visų pirma tyrime siūloma koordinuoti tuos aspektus, kurie užtikrintų rezultatų nuoseklumą, t. y. siūloma labiau suvienodinti procedūras, kurios taikomos skirtinguose komitetuose rengiant galutines EMA mokslines nuomones ir rekomendacijas. Šiuo metu atliekama reglamentų dėl vaistų nuo retųjų ligų ir dėl vaikams skirtų vaistų peržiūra ir jau vertinama, kaip būtų galima, i) esant galimybei, geriau koordinuoti atitinkamų komitetų darbą ir ii) supaprastinti bei racionalizuoti tam tikras procedūras.

Tiriamuoju 2010–2017 m. laikotarpiu padaugėjo MVĮ pateikiamų paraiškų dėl vaistų rinkodaros leidimų pagal centralizuotą procedūrą. Tačiau MVĮ pateiktų paraiškų dėl vaistų, kuriems atsisakyta suteikti rinkodaros leidimą, dalis yra didesnė nei didesnių įmonių atveju. Remiantis rangovo atlikto tyrimo išvadomis, tai galėjo lemti šios procedūros sudėtingumas, kaina ir prieinamumas. Taip pat MVĮ trūksta darbuotojų ir lėšų, todėl siekiant gauti rinkodaros leidimą, jiems kyla sunkumų, susijusių su kokybei ir klinikiniams tyrimams keliamais reikalavimais. Be to, MVĮ nebūtinai pačios gali pateikti rinkai savo sukurtus vaistus – perspektyvius vaistus paskutiniuose jų kūrimo etapuose neretai įsigyja didesnės farmacijos įmonės.

Tiriamuoju 2010–2017 m. laikotarpiu padaryta didelė pažanga MVĮ teikiamos paramos klausimais dėl:

- EMA patvirtintos specialios paramos funkcijos ir MVĮ skirtų paskatų (pvz., reguliavimo gairių ir mokesčio lengvatų);
- nacionalinių kompetentingų institucijų paramos, t. y. ankstyvame etape teikiamų konsultacijų, įmonėms, įskaitant MVĮ.

Kaip dar būtų galima padėti MVĮ, bus analizuojama įgyvendinant ES vaistų strategiją.

Dėl skaitmeninės pertvarkos sveikatos sektorius keičiasi. Tačiau skaitmeninė infrastruktūra pakankamai išplėtota ir skaitmeninių technologijų kompetencijos pakanka ne visose valstybėse narėse ir ne visame tinkle. Skaitmeninių žinių plėtojimas ir skaitmeninės infrastruktūros plėtra ypač svarbūs tvarkant didelius duomenų kiekius ir naudojant dirbtinį intelektą.

Visi suinteresuotieji subjektai sutarė, kad ES telematikos sistemos taip pat atlieka svarbų vaidmenį didinant šios sistemos efektyvumą. Tačiau suinteresuotieji subjektai taip pat nustatė tam tikrų tobulintinų aspektų. Nacionalinės kompetentingos institucijos atkreipė dėmesį į labai sudėtingą ES telematikos valdymo sistemą. Kai kurie suinteresuotieji subjektai teigė, kad EMA telematikos sistemos ir nacionalinės sistemos nėra visiškai suderinamos, todėl dubliuojami kai kurie darbai. Įvairūs suinteresuotieji subjektai ir nacionalinės kompetentingos institucijos atkreipė dėmesį į tai, kad tinklas atsilieka visą ES apimančių IT sistemų kūrimo srityje. Tokią padėtį lemia tai, kad šiuo metu yra du vienodai svarbūs prioritetai – būtinybė sukurti naujas IT sistemas, kurių reikalaujama teisės aktais, ir būtinybė šiuo metu turimais ištekliais išlaikyti esamas sistemas. Laiku ir greitai neišsprendus šio klausimo, gali sumažėti šios sistemos efektyvumas.

Nacionalinės kompetentingos institucijos, EMA ir ekspertai nurodė, kad šioje sistemoje kyla tam tikrų sunkumų vykdant procedūras, susijusias su produktais, kurie iš esmės nėra nei vaistai, nei medicinos priemonės ir kuriuos sunku priskirti vienai ar kitai kategorijai (t. y. produktai, kurių pagrindinį veikimo būdą sunku nustatyti). Būtina geriau koordinuoti skirtingų sektorių veiklą, kad nebūtų jokių kliūčių diegti naujoves ES. Taip pat kyla sunkumų dėl ribų, skiriančių vaistus nuo kitų kategorijų produktų (t. y. iš žmogaus kūno gaunamų medžiagų, biocidų ir maisto papildų).

EMA komitetams ir darbo grupėms būtina rasti daugiau galimybių plėsti savo žinias naujose kompetencijos srityse, kad kuriant ir vertinant naujus vaistus būtų galima pasinaudoti naujausiomis mokslo ir technikos žiniomis. Tai ypač svarbu tokiose srityse kaip pažangiosios terapijos vaistai; nacionalinėms kompetentingoms institucijoms vis svarbiau plėtoti savo kompetenciją šioje srityje, atsižvelgiant į tai, kad rinkai pateikiama labai daug tokių vaistų.

5. COVID-19 PANDEMIJOS METU SUKAUPTA PIRMINĖ PATIRTIS, SUSIJUSI SU LEIDIMŲ SUTEIKIMO IR STEBĖSENOS PROCEDŪROMIS

COVID-19 pandemija išryškino ir Europos vaistų reguliavimo sistemos trūkumus, ir jos stipriąsias puses. Pandemija taip pat suteikė galimybę pamatyti, kaip būtų galima patobulinti šią sistemą.

Europos vaistų agentūrai greitai parengus mokslines rekomendacijas ir nuolat peržiūrint vis pateikiamus mokslinius įrodymus, taip pat Europos Komisijai skubos tvarka priėmus atitinkamus sprendimus, ES pavyko greitai įvertinti vakcinas nuo COVID-19 ir šios ligos gydymo priemones ir suteikti jų rinkodaros leidimus. Nuotoliniai patikrinimai ir nuotoliniu būdu atliekami klinikiniai tyrimai suteikė galimybę ne tik užtikrinti tolesnį sistemos veikimą dėl pandemijos nustatytų apribojimų sąlygomis, bet ir išmėginti kitokius darbo metodus. Atsižvelgiant į nepaprastąją padėtį, buvo suteikti vakcinų ir kitų vaistų nuo COVID-19 sąlyginiai rinkodaros leidimai. Taikydamos vilties vaistinių preparatų naudojimo[15] mechanizmus pagal EMA pateiktas suderintas rekomendacijas, valstybės narės nacionaliniu lygmeniu leido vartoti vaistus nuo COVID-19 dar iki jų (sąlyginio) rinkodaros leidimo suteikimo. Būtent tokia tvarka buvo pritaikyta remdesivirui, prieš suteikiant sąlyginį rinkodaros leidimą, taip pat deksametazonui ir vaistams, kuriuos sudaro SARS-CoV-2 monokloniniai antikūnai[16].

Siekiant efektyviai reaguoti į ekstremaliąją situaciją, teisės aktuose buvo įtvirtintos lankstesnio reguliavimo nuostatos, pvz., susijusios su ženklinimui ir konsultacijų terminams bei kalboms sprendimų priėmimo proceso metu keliamais reikalavimais. Tokios galimybę prisitaikyti užtikrinančios nuostatos buvo paaiškintos keliuose rekomendaciniuose dokumentuose, kuriuos paskelbė Komisija[17], EMA[18] ir vaistų agentūrų vadovai[19].

Pandemija taip pat dar labiau išryškino, koks svarbus ankstyvas dialogas su vaistų kūrėjais ir akademine bendruomene, kad EMA ir ES tinklo ekspertai žengtų koja kojon su atsirandančiomis naujomis technologijomis ir galėtų pasirengti jų peržiūrai; tai padėjo greitai patvirtinti vakcinas nuo COVID-19 ir jos gydymo priemones. Į EMA COVID-19 pandemijos klausimų darbo grupę[20] buvo suburti geriausi tinklo ekspertai ir

[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] Pvz., vaccinesstrategy_labellingpackaging_en.pdf (europa.eu) ir guidance_regulatory_covid19_en.pdf (europa.eu).
[18] EMA rekomendacijos skelbiamos čia, Guidance for medicine developers and other stakeholders on COVID-19 | European Medicines Agency (europa.eu) (Vaistų kūrėjams ir kitiems suinteresuotiesiems subjektams skirtos Europos vaistų agentūros rekomendacijos dėl COVID-19).
[19] Vaistų agentūrų vadovai – COVID-19 (hma.eu).
[20] EMA COVID-19 pandemijos klausimų darbo grupė, 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.

ji užtikrino greitą ir koordinuotą reagavimą į pandemiją, pvz., ankstyvame etape teikė konsultacijas vaistų kūrėjams ir vadovavo mokslinėms diskusijoms pasiekus svarbius tarpinius tikslus. Į šią sukauptą patirtį jau atsižvelgta pasiūlyme sustiprinti EMA įgaliojimus[21], kuris įtrauktas į sveikatos sąjungos srities dokumentų rinkinį; jame siūloma tokią darbo grupę oficialiai įsteigti Europos vaistų agentūroje, kad ji vadovautų moksliniam atsakui į bet kokias būsimas ekstremaliąsias visuomenės sveikatos situacijas. Tame pačiame pasiūlyme taip pat numatyti krizės valdymo ir stygiaus stebėsenos bei mažinimo mechanizmai.

Dėl pandemijos Europos vaistų reguliavimo tinklui teko itin didelis krūvis, viršijantis jo išteklių galimybes. Siekiant užtikrinti veiklos tęstinumą, imtasi poveikio švelninimo priemonių[22]. Valstybės narės teigė, kad jų darbo krūvis, atliekant vakcinų ir terapinių vaistų nuo COVID-19 vertinimą ir vykdant atitinkamą farmakologinio budrumo veiklą, buvo kaip niekad didelis. Joms pavyko neilgą laiką atlaikyti tokį didelį darbo krūvį, nepatiriant rimto poveikio įprastai veiklai, ir pasiekti puikių rezultatų, teikiant veiksmingą paramą vaistų ir vakcinų nuo COVID-19 kūrėjams ir laiku suteikiant keturių vakcinų nuo COVID-19 rinkodaros leidimus. Vis dėlto šiuo klausimu būtina tęsti stebėseną, siekiant užtikrinti, kad būtų imtasi tinkamų veiksmų tinklo pajėgumui palaikyti ir didinti.

Šiuo metu jau svarstoma galimybė į įprastą veiklą įtraukti pakoreguotas per COVID-19 pandemiją taikytas priemones ir galimybę prisitaikyti užtikrinančias nuostatas, ir tokia galimybė bus toliau vertinama, be kita ko, įvertinant jos poveikį ištekliams, vertinant bendrus farmacijos srities teisės aktus pagal ES vaistų strategiją.

6. IŠVADOS

Ši ataskaita ir pagrindžiamasis tyrimas patvirtina, kad apskritai ES vaistų leidimų sistema veikia gerai. Tačiau joje taip pat atkreipiamas dėmesys į tam tikrus tobulintinus aspektus. Be to, tyrimas buvo atliktas iki trikdančių pastarojo laikotarpio įvykių, turėjusių tiesioginį poveikį rinkodaros leidimų procedūroms ir veiklos tęstinumui, kaip antai Jungtinės Karalystės išstojimo iš ES ir COVID-19 pandemijos. Į patirtį, įgytą šiuo laikotarpiu, turėtų būti atsižvelgiama įgyvendinant bet kokius tolesnius veiksmus. Tam tikra pirminė patirtis, sukaupta kovojant su COVID-19 pandemija, aptarta 5 skirsnyje.

ES vaistų strategijos[5] įgyvendinimas, apimantis uždavinius, susijusius su vaistų reguliavimo sistema, ir labai įvairius probleminius klausimus, kylančius skirtinguose vaistų gyvavimo ciklo etapuose, suteikia galimybę reaguojant į pirmiau išdėstytus sunkumus vadovautis holistiniu požiūriu.

[21]COM(2020) 725.
[22] EMRN COVID19 BCP (europa.eu).

Įgyvendinant šią strategiją bus analizuojami keli probleminiai klausimai, pvz., i) kaip spręsti vaistų stygiaus klausimą; ii) kaip racionalizuoti procedūras ir gyvavimo ciklo valdymą, įskaitant procedūras, susijusias su rinkodaros leidimų sąlygų pakeitimais; iii) kaip stiprinti įvairių sektorių ir atitinkamų dalyvių bendradarbiavimą skirtinguose vaistų gyvavimo ciklo etapuose ir iv) kaip užtikrinti atitinkamą kompetenciją tinkle. Strategijos įgyvendinimas taip pat bus naudingas MVĮ, nes sumažės pramonei tenkanti administracinė našta ir stiprės vaistų reguliavimo institucijų, STV įstaigų ir kainodaros bei kompensavimo institucijų bendradarbiavimas.

Dėl kai kurių veiksmų reikės pakeisti teisės aktus, o kitus veiksmus galima įgyvendinti ne teisėkūros priemonėmis (pvz., parengiant gaires ir sustiprinant bendradarbiavimą). Įrodymų dėl poreikio imtis konkrečių teisėkūros veiksmų bus surinkta vertinant farmacijos srities teisės aktus pagal ES vaistų strategiją.

ES vaistų strategija[5] bus įgyvendinama glaudžiai bendradarbiaujant su i) EMA, ii) valstybėmis narėmis ir nacionalinėmis kompetentingomis institucijomis, iii) pacientų ir sveikatos priežiūros specialistų organizacijomis, iv) akademine bendruomene, v) pramonės atstovais ir vi) kitais atitinkamais suinteresuotaisiais subjektais.