EURÓPAI
BIZOTTSÁG

Brüsszel, 2021.8.31.
COM(2021) 497 final

A BIZOTTSÁG JELENTÉSE AZ EURÓPAI PARLAMENTNEK ÉS A TANÁCSNAK

az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekre vonatkozó uniós jogszabályokban meghatározott követelményeknek megfelelően az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó eljárásokkal kapcsolatos tapasztalatokról

1. BEVEZETÉS

A Bizottság köteles legalább tízévente[1] általános jelentést közzétenni a 726/2004/EK rendeletben[2] és a 2001/83/EK irányelv[3] III. címének 4. fejezetében meghatározott, az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekre vonatkozó eljárások lefolytatása során megszerzett tapasztalatokról. Az EU-ban különféle eljárások léteznek a gyógyszerek forgalombahozatali engedélyeinek megadására vonatkozóan. Ez a jelentés a központosított, a decentralizált és a kölcsönös elismerési eljárásról szól. A jelentés nem tárgyalja az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek egyetlen tagállamban történő engedélyezésére irányuló, tisztán nemzeti eljárásokat.[4]

Ez a jelentés az európai gyógyszerstratégiához[5] kapcsolódik, és a benne foglalt információk a lehetséges jogalkotási és nem jogalkotási intézkedések tekintetében felhasználhatók lesznek a stratégia végrehajtásához. Ezenkívül kiegészíti a következő jogszabályok folyamatban lévő felülvizsgálatát: i. a ritka betegségek kezelésére szolgáló és a gyermekeknek szánt gyógyszerekről szóló uniós rendeletek;[6] és ii. az Európai Gyógyszerügynökség díjrendszeréről szóló rendelet.[7]

2. SZABÁLYOZÁSI KERET ÉS KÖRNYEZET

A szabályozás céljai

A gyógyszerekre vonatkozó uniós szabályozási keretnek három fő célkitűzése van, amelyeket a lenti pontok ismertetnek.

- Első célkitűzése, hogy az egészség magas szintű védelmét biztosítsa az európai polgároknak. Ezt két fő módon igyekszik elérni. Először is a szabályozás célja, hogy a lehető leggyorsabban magas színvonalú, biztonságos és hatékony gyógyszereket biztosítson a betegeknek, ideértve az innovatív és a lejárt szabadalmú gyógyszereket is. Másodsorban arra irányul, hogy megerősített nyomonkövetési és farmakovigilanciai eljárások segítségével fokozza a gyógyszerek engedélyezés utáni nyomon követését.
- A második célkitűzés a következőkre irányul: i. a gyógyszeripari termékek egységes piacának teljes körű megvalósítása, figyelembe véve a globalizáció hatásait is; és ii. az európai gyógyszeripar versenyképességének támogatása.

[1] A 726/2004/EK rendelet 86. cikke és a 2001/83/EK irányelv 38. cikkének (2) bekezdése.
[2] Az Európai Parlament és a Tanács 726/2004/EK rendelete (2004. március 31.) az emberi, illetve állatgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó közösségi eljárások meghatározásáról és az Európai Gyógyszerügynökség létrehozásáról (HL L 136., 2004.4.30., 1. o.).
[3] Az Európai Parlament és a Tanács 2001/83/EK irányelve (2001. november 6.) az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek közösségi kódexéről (HL L 311., 2001.11.28., 67. o.).
[4] A 2. rész további információkkal szolgál az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek forgalombahozatali engedélyeivel kapcsolatos különböző uniós eljárásokról.
[5] COM(2020) 761.
[6] A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekről 1901/2006/EK rendelet és a ritka betegségek gyógyszereiről szóló 141/2001/EK rendelet közös értékelése (SWD(2020) 163 final).
[7] Az Európai Gyógyszerügynökség díjrendszerének értékelése (SWD(2019) 335 final).

- A harmadik célkitűzés a szabályozási rendszer lehető legnagyobb mértékű racionalizálására és egyszerűsítésére irányul, ezáltal javítva annak általános következetességét, hatékonyságát és átláthatóságát az eljárások lefolytatása és a döntéshozatal terén.

A forgalombahozatali engedélyezési eljárások

Az 1965-ben létrejött első uniós gyógyszerészeti szabályozás óta az EU a következő két átfogó cél elérésén dolgozik: a közegészség magas szintű védelmének biztosítása és a gyógyszerek szabad mozgása előtti akadályok felszámolása. A 65/65/EGK tanácsi irányelv[8] rögzítette az uniós gyógyszerészeti jogszabályok alapelvét, amely szerint a gyógyszerek csak akkor hozhatók piaci forgalomba az EU-ban, ha az adott termékekre vonatkozóan megadták a forgalombahozatali engedélyt. A gyógyszerek engedélyezése három fő feltételre épül: a minőségre, a biztonságra és a hatékonyságra. Ez segít annak biztosításában, hogy a betegeknek adott termékek megfelelő minőségűek legyenek, és hogy pozitív legyen az előny/kockázat viszony.

1965 óta jelentős mennyiségű jogszabály kidolgozására került sor. Az egész Európai Gazdasági Térségben (EGT-ben) fokozatosan összehangolták a következőkre vonatkozó követelményeket: i. a forgalombahozatali engedélyek megadása; és ii. a forgalomba hozatal utáni nyomon követés. Az EGT-ben a gyógyszerek forgalombahozatali engedélyezési eljárásait szabályozó két legfontosabb jogi aktus jelenleg a módosított 726/2004/EK rendelet és a módosított 2001/83/EK irányelv. A forgalombahozatali engedély megszerzésére négy különböző eljárás áll rendelkezésre: egy **központosított eljárás**; egy **decentralizált eljárás**;egy **kölcsönös elismerési eljárás**; és egy tisztán **nemzeti eljárás**.

A központosított eljárás lehetővé teszi a kérelmező számára, hogy az egész EGT-re vonatkozóan egyetlen engedélyt szerezzen be.[9] A kérelmet az Európai Gyógyszerügynökség (EMA) bírálja el az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó tudományos bizottságán (CHMP) keresztül, az engedélyt pedig az Európai Bizottság adja meg. Az emberi felhasználásra szánt központosított eljárásnak két különböző alkalmazási köre van. Az első a kötelező alkalmazási kör, amely a következőkre vonatkozik: i. egyes biotechnológiai eljárásokkal kifejlesztett gyógyszerek; ii. fejlett terápiás gyógyszerek; iii. ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszerek; és iv. egyes konkrét betegségek – például a rák, az AIDS és a cukorbetegség – kezelésére szolgáló új gyógyszerek. A második alkalmazási kör opcionális, és például a következőkre vonatkozik: i. egyéb betegségterületekkel

[8]A Tanács 65/65/EGK irányelve (1965. január 26.) a bejegyzett gyógyszerkészítményekre vonatkozó törvényi, rendeleti vagy közigazgatási intézkedésekben megállapított rendelkezések közelítéséről (HL 22., 1965.2.9., 369. o.).

[9] Az EGT-megállapodásnak megfelelően Norvégia, Izland és Liechtenstein esetében az uniós forgalombahozatali engedélyek érvényre juttatásához nemzeti eljárásra/intézkedésre van szükség.

kapcsolatos gyógyszerek; ii. új hatóanyagot tartalmazó gyógyszerek; vagy iii. olyan már meglévő gyógyszerek, amelyek jelentős innovációt vezetnek be.

A többi eljárás azt teszi lehetővé a kérelmező számára, hogy nemzeti engedélyt szerezzen csupán egy tagállam piacára vonatkozóan (tisztán nemzeti eljárásban) vagy több tagállami piac tekintetében (decentralizált eljárás, illetve kölcsönös elismerési eljárás keretében).

A kölcsönös elismerési eljárás akkor alkalmazandó, ha a kérelmező valamelyik tagállamban már nemzeti engedéllyel rendelkezik egy adott gyógyszerre vonatkozóan, és más tagállamokban ugyanezen gyógyszer tekintetében nemzeti engedélyt kíván szerezni.

A decentralizált eljárás olyan termékekre vonatozik, amelyeket még egyik tagállamban sem engedélyeztek, és amelyek tekintetében a kérelmező több tagállamban is nemzeti forgalombahozatali engedélyt kíván szerezni.

A forgalombahozatali engedély első alkalommal történő megadását a tevékenységek alábbi pontokban ismertetett két típusa előzi meg, illetve követi.

- **A tevékenységek első típusát az engedélyezést megelőző tevékenységek jelentik.** Ezekre a tevékenységekre a forgalombahozatali engedély iránti kérelem benyújtása előtt kerül sor. A következők tartoznak közéjük: i. tudományos szakvélemény kérése és tudományos tanácsadás; ii. a ritka betegségek kezelésére szánt gyógyszerekre vonatkozó kérelmek értékelése; iii. gyermekgyógyászati vizsgálati tervek egyeztetése; és iv. egyéb hivatalos és nem hivatalos tevékenységek a gyógyszerfejlesztés, valamint a forgalombahozatali engedély iránti kérelmek elkészítésének támogatása érdekében.
- **A tevékenységek második típusát a forgalomba hozatal utáni tevékenységek jelentik.** Ezek közé tartoznak a farmakovigilanciai tevékenységek (a biztonság folyamatos nyomon követése), a továbbutalások és a forgalombahozatali engedélyek módosításai.

Az európai gyógyszeripari szabályozási hálózat

A gyógyszerek engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó kötelezettségeik teljesítése érdekében a Bizottság, az EMA és a tagállamok illetékes nemzeti hatóságai partnerséget hoztak létre. Erre a partnerségre rendszerint európai gyógyszeripari szabályozási hálózatként hivatkoznak. Ebben a hálózatban a felek az alábbiakban meghatározott különböző szerepeket töltik be.

- Az EMA felel az EU-ban a gyógyszerek tudományos értékeléséért, felügyeletéért, és biztonságának nyomon követéséért. Az EMA ezenkívül az egész EU tekintetében koordinálja a tudományos szakértelmet.
- Az illetékes nemzeti hatóságok felelnek a nemzeti forgalombahozatali engedélyek megadásáért és a gyógyszerek érintett tagállamokban történő felügyeletéért. Ezenkívül szakértelmükkel is hozzájárulnak a hálózathoz.

- Az Európai Bizottság az EMA értékelését követően megadja az uniós forgalombahozatali engedélyeket. Ezenkívül nyomon követi és felügyeli a hálózat tevékenységeit is. Felelős továbbá az uniós jog helyes alkalmazásának biztosításáért is.

A felek a gyógyszerek fejlesztésében, gyártásában, forgalmazásában és alkalmazásában részt vevő valamennyi érdekelt féllel szorosan együttműködnek. A szóban forgó együttműködés célja, hogy biztosítsa a jogszabályokban foglalt célkitűzések megvalósítását.

3. HÁTTÉRELEMZŐ VIZSGÁLAT

A Bizottság külső vállalkozót bízott meg azzal, hogy készítsen háttértanulmányt ehhez a jelentéshez.

Az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek engedélyezésére és nyomon követésére vonatkozó eljárások alkalmazása során szerzett tapasztalatokról szóló tanulmány[10]

A tanulmány értékelte, hogy a gyógyszerek jelenlegi forgalombahozatali engedélyezési rendszere milyen mértékben valósította meg a benne foglalt célkitűzéseket a 2010 és 2017 közötti időszakban. Pontosabban a tanulmány:

- összegyűjtötte a központosított eljárás, a decentralizált eljárás és a kölcsönös elismerési eljárás alkalmazására vonatkozó rendelkezésre álló adatokat és bizonyítékokat,
- értékelte a meglévő eljárások és rendszer eredményességét (a szabályozási keret által meghatározott célkitűzések megvalósítását) és hatékonyságát (a felhasznált erőforrások és a megvalósított módosítások közötti kapcsolatot, melynek keretében az igazgatási, valamint a szabályozásból eredő terheket is vizsgálta), ideértve az európai gyógyszeripari szabályozási hálózat működésének értékelését is,
- összegezte az elemzés eredményeit, és hasznos következtetéseket vont le a forgalombahozatali engedélyezési eljárások során megszerzett tapasztalatok tanulságai alapján,
- összevetette az aktuális helyzetet a 2010. évi tanulmány megállapításaival, és megvizsgálta a 2010-ben tett ajánlások megvalósítását,
- olyan potenciális intézkedéseket azonosított, amelyeknek meghozatalára szükség lehet az optimális teljesítmény meglévő gátjainak és akadályainak felszámolásához, valamint elemezte az összes ilyen opció mellett és ellen szóló érveket.

A tanulmány keretében konzultációra került sor az érdekelt felekkel a rendszerrel kapcsolatos tapasztalataikról, valamint a rendszer erősségeiről és gyengeségeiről. A következő konzultációs tevékenységekre került sor:

[10] *A közzétételt követően beillesztendő a hivatkozás.*

- az EMA, a Bizottság, az Európai Parlament, a gyógyszeripar, az ernyőszervezetek, a betegcsoportok és az egészségügyi szakemberek szervezeteinek képviselőivel folytatott interjúk,
- részvétel a CHMP, valamint a kölcsönös elismerési és a decentralizált eljárással foglalkozó koordinációs csoport (emberi felhasználás; CMDh) találkozóin,
- az illetékes nemzeti hatóságoknak elküldött írásbeli kérdőív, amelyet telefonos interjúk követtek,
- a bizottsági szakértőknek elküldött online felmérés,
- nyolc tagállami vizsgálat (Csehország, Dánia, Észtország, Németország, Olaszország, Portugália, Spanyolország és Svédország).

A vizsgálati jelentés felülvizsgálata

A Bizottság a vállalkozó által elkészített tanulmányt elküldte a tagállamoknak, az EMA-nak és a CMDh-nak. A beérkezett megjegyzések tisztázták a tanulmányban szereplő ellentmondásokat és pontatlanságokat. A megjegyzések azonban emellett javasolták a hatékonyságnövelés egyes lehetséges módjainak további vizsgálatát, valamint a meglévő eljárások és iránymutatások tudományos innovációhoz és fejlődéshez történő hozzáigazítását is. A megjegyzésekben például a következőket kérték: i. az illetékes nemzeti hatóságok, az EMA és az egészségügyi technológiaértékeléssel foglalkozó szervek közötti fokozottabb koordinációt; és ii. az adminisztratív terhek csökkentése érdekében az eljárások észszerűsítésére irányuló intézkedéseket. A megjegyzések a tanulmányban nem kellően tárgyalt kérdésekre is felhívták a figyelmet, ezeket azonban a gyógyszerészeti jogszabályok értékelése során tovább fogják vizsgálni az európai gyógyszerstratégia keretében.

4. AZ ENGEDÉLYEZÉSI ÉS NYOMONKÖVETÉSI ELJÁRÁSOK ÉRTÉKELÉSÉRE VONATKOZÓ VIZSGÁLAT EREDMÉNYEI

Eredményesség

A vállalkozó tanulmányában szereplő adatok összességében arra utalnak, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek uniós forgalombahozatali engedélyezési és nyomonkövetési eljárásainak meglévő rendszere megfelel a jogszabályokban rögzített célkitűzéseknek. Így kijelenthető, hogy a jelenlegi rendszer magas szintű egészségvédelmet biztosít az európai polgárok számára. A rendszer emellett nagyrészt teljesíti azokat a célkitűzéseit, amelyek szerint teljeskörűen meg kell valósítania a gyógyszeripari termékek belső piacát, és olyan szabályozási keretet kell létrehoznia, amely támogatja az európai gyógyszeripar versenyképességét.

A gyors tudományos fejlődés új kihívások elé állította a rendszert. A rendszer ezért a következők nyomán összetettebbé vált: i. új uniós jogszabályok új bizottságokat állítottak fel; ii. támogató szakértői munkacsoportok jöttek létre; és iii. további uniós jogi követelmények elfogadására került sor. A tudomány gyors fejlődése továbbra is

kihívást jelent a rendszer számára, és ezekre a kihívásokra az európai gyógyszerstratégia végrehajtása keretében születnek majd megoldási javaslatok.

A 2010 és 2017 közötti időszakban általánosságban növekedett a hálózaton belüli tevékenységek mértéke. Ennek eredményeként a legtöbb illetékes nemzeti hatóság több erőforrást biztosított az uniós szintű tevékenységekre. Az EMA (81 %-kal) megnövekedett díjbevétele szintén a tevékenységek megnövekedett mértékére utal, mivel a kérelmezők a forgalombahozatali engedélyek kérelmezéséért és fenntartásáért fizetik a díjakat. A forgalombahozatali engedély első alkalommal történő megadása iránt a központosított eljárás keretében benyújtott kérelmek száma továbbra is stabilan évi 90–100 volt. Ezek az új kérelmek azonban hozzáadódnak az EMA, a hálózat és a Bizottság által kezelendő, folyamatosan növekvő mennyiségű engedélyezett termékből álló portfólióhoz. Ennek következtében folyamatosan nő a forgalomba hozatal utáni eljárások és a kapcsolódó felügyeleti és nyomonkövetési tevékenységek száma. A forgalombahozatali engedélyek központosított eljárásban jóváhagyott módosításainak száma a 2010. évi 4 100-ról 2017-ben körülbelül 6 200-ra nőtt (51 %-os növekedés).[11]

Ezenkívül a ritka betegségek kezelésére használt, a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt és a fejlett terápiás gyógyszerekkel kapcsolatos eljárások száma is jelentősen megnőtt a 2010 és 2017 közötti időszakban. A fejlett terápiás gyógyszerkészítményként történő besorolás iránti kérelmek száma a 2013-ban benyújtott 20 kérelemről 2017-ben 46-ra nőtt (ami 130 %-os növekedésnek felel meg), a ritka betegségek kezelésére szánt gyógyszerekre vonatkozóan évente benyújtott kérelmek száma 174-ről 260-ra emelkedett (49 %-os növekedés), a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekkel kapcsolatos eljárások száma pedig 318-ról 421-re nőtt (32 %-os növekedés).

A lezárt kölcsönös elismerési eljárások és decentralizált eljárások száma a 2010-ben lefolytatott 1 640 eljárás és a 2017-ben lefolytatott 1 515 eljárás között mozgott. 2014-ben 1 046-ra esett vissza az eljárások száma.[12] A CMDh fontos szerepet tölt be a kölcsönös elismerési és a decentralizált eljárásokban, mind az engedélyezést megelőzően, mind azt követően. Elősegíti a harmonizációt, például azzal, hogy megvizsgálja a tagállamok közötti nézeteltéréseket, és általános iránymutatást ad az eljárásokkal kapcsolatban. A vizsgált időszak során a CMDh által folytatott párbeszédeknek és együttműködésnek, valamint az általa megvalósított harmonizációnak köszönhetően csökkent a kölcsönös elismerési és a decentralizált eljárásokra történő utalások száma. A CMDh elé utalt ügyek száma a 2010. évi 17-ről 2017-ben 11-re esett vissza, és az ilyen ügyek száma 2012-ben volt a legmagasabb (27). A CMDh-tól a CHMP elé utalt ügyek száma a 2010. évi 7-ről 2017-ben mindössze 1-re esett vissza.[12]

[11] Az EMA nyilvánosan elérhető éves jelentései alapján: https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes

[12] A CMDh 2017. évi statisztikája.

A gyógyszerfejlesztők által az EMA-hoz benyújtott, tudományos tanácsadás és a vizsgálati tervekkel kapcsolatos segítségnyújtás iránti kérelmek száma több mint 40 %-kal nőtt 2010 és 2017 között. A vállalkozó tanulmánya elismeri, hogy az EMA összességében jól működő eljárást biztosított.

A kis- és középvállalkozásoknak (kkv-knak) nyújtott támogatás az EMA-hoz 2013-ban benyújtott 366 tudományos tanácsadás iránti kérelemről 2017-ben 436-ra nőtt. Ebben az időszakban az EMA-hoz benyújtott összes kérelemnek mintegy a 30 %-a kkv-khoz kapcsolódott.

A rendszer összességében továbbra is eredményes maradt, annak ellenére, hogy nőtt az aktivitás. A rendszer a tagállamok erőforrásaira és szakértelmére támaszkodik, és a rendszeren belüli koordinációt biztosító mechanizmusokat alkalmaz. Az EMA hatékony koordinációs és tudományos támogatási szerepet tölt be, melynek keretében szervezeti felépítését és a munkamódszereit úgy alakítja, hogy a magasabb szintű aktivitásra reagálva biztosítsa a hatékonyság növelését.

Az uniós bővítések után nagyobb mértékű volt a tagállamok közötti harmonizáció és koordináció. Egyre több tagállam vállalt aktív szerepet az eljárásokban a következő minőségben: i. (társ)előadóként; ii. a központosított eljárásban valamely több nemzetből álló értékelő csoport tagjaként; vagy iii. referencia tagállamként a kölcsönös elismerési és a decentralizált eljárásokban.

Megerősítették a piacfelügyeletet és a biztonsági ellenőrzéseket. Ennek egyik indoka a farmakovigilanciára vonatkozó módosított jogszabályok 2012. évi végrehajtása volt, ami a következőkhöz vezetett: i. a farmakovigilancia-kockázatértékelési bizottság létrehozásához; és ii. az összehangolt jelzéskezeléshez. A gyógyszermellékhatások jelentésére szolgáló mechanizmusokat folyamatosan fejlesztették. A betegek különösen fontos szerepet töltöttek be ezen a téren, és az általuk bejelentett gyógyszermellékhatások száma 2017-ben elérte a mintegy 90 000-et.[13] A gyógyszermellékhatásokra vonatkozó felülvizsgálati eljárás azonosítja a potenciális kockázatokat, és lehetőséget biztosít az EMA, a Bizottság és az illetékes nemzeti hatóságok számára, hogy meghozzák a szükséges szabályozási intézkedéseket. E potenciális kockázatok azonosítása tovább javítható a valós adatok eljárásokba történő beépítése útján. Ehhez fejleszteni kell a nagy adathalmazokra épülő technológia, a farmakoepidemiológia és a statisztika terén meglévő szakértelmet.

Hatékonyság

A vizsgálat megállapította, hogy a meglévő rendszer hatékonysága javítható. A legfontosabb fejlesztendő elemeket az alábbiakban ismertetjük, az európai gyógyszerstratégia végrehajtása keretében pedig sor kerül majd azok további vizsgálatára és tárgyalására is.

[13] Az EMA 2017. évi éves jelentése.

A vizsgálatban részt vevő szakértők közül páran már a Covid19-világjárvány előtt jelezték, hogy nem áll rendelkezésre elegendő kapacitás a sürgősségi igények és a gyógyszerhiány forgalomba hozatal utáni eljárások útján történő kezelésére. A szakértők kijelentették, hogy a rendszer nem képes gyorsan és rugalmasan reagálni, tekintettel arra, hogy a) nem állnak rendelkezésre a sürgősségi igények (például a gyógyszerhiány) kezelésére vonatkozó uniós jogszabályok, és b) a tagállamok, illetve a bizottságok között alkalmazott koordinációs megközelítés nehézkes, amit észszerűsíteni kell, valamint hivatalossá kell tenni.

Az európai egészségügyi unióra vonatkozó intézkedéscsomag[14] keretében nemrégiben elfogadott jogalkotási javaslatok segíteni fognak a sürgősségi igények kezelésében. Ezenkívül az európai gyógyszerstratégia[5] egyedi intézkedések segítségével fogja vizsgálni, hogy hogyan minimalizálható a gyógyszerhiány kockázata; ilyen egyedi intézkedések például a következők: i. szigorúbb ellátási kötelezettségek; ii. a gyógyszerhiány és a gyógyszerek forgalomból történő kivonásának gyorsabb bejelentése; iii. a készletek fokozottabb átláthatósága; és iv. a gyógyszerhiány nyomon követésére, kezelésére és megelőzésére irányuló szigorúbb uniós koordinációs mechanizmusok. Az európai gyógyszerstratégia keretében ezenkívül olyan intézkedések mérlegelésére is sor kerül majd, amelyek az egész EU-ban javítani fogják a gyógyszerek elérhetőségét. Ez szintén (megelőző) hatással lesz a gyógyszerhiányra.

A vállalkozó tanulmánya szerint az uniós gyógyszerészeti jogszabályok által szabályozott engedélyezési eljáráson kívül az EMA, az illetékes nemzeti hatóságok és az egészségügyi technológiaértékeléssel foglalkozó szervek közötti koordináció is javítható. Ez segítene annak biztosításában, hogy a gyógyszerek gyorsabban elérhetők legyenek a betegek számára. 2010 óta megnőtt az EMA / az illetékes nemzeti hatóságok és az egészségügyi technológiaértékeléssel foglalkozó szervek / az árképzés terén illetékes hatóságok / a visszatérítés terén illetékes hatóságok közösen kiadott tudományos szakvéleménye iránti eljárások száma. A közös tudományos szakvéleményre irányuló eljárások lehetővé tennék a klinikai vizsgálatok és a valós adatokat tartalmazó vizsgálatok olyan módon történő megtervezését, hogy többféleképpen felhasználható bizonyítékok jöjjenek létre. Ezek a bizonyítékok nemcsak a forgalombahozatali engedélyek, hanem az árképzésre és a visszatérítésekre vonatkozó nemzeti szintű döntések alátámasztására is felhasználhatók lennének. Ez a betegek számára gyorsabb hozzáférést biztosítana a gyógyszerekhez. Az említett felek közötti szorosabb együttműködés tehát hatékonyabbá fogja tenni a rendszert, ami a betegek javát szolgálja majd, és javítani fogja a gyógyszerekhez való hozzáférésüket.

Az adminisztratív terhek csökkentése, valamint a szabályozó hatóságok és az iparági szereplők számára értékes idő és kapacitás felszabadítása érdekében egyszerűsíteni kell

[14] Az európai egészségügyi unióra vonatkozó intézkedéscsomag: COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726, COM (2020) 727.

a szabályozási keretet. Ez bizonyos eljárások és folyamatok észszerűsítésével lehetne elérni. Az engedélyezési eljárások észszerűsítése és az engedélyezési keret optimalizálása érdekében érdemes lenne megfontolni a világ más részein már bevált rendszerekkel való együttműködést, amelyekből ötleteket is lehetne meríteni.

A forgalombahozatali engedély feltételei nagyon sokféleképpen módosíthatók. A változtatások például i. új terápiás javallatot adhatnak hozzá a termékhez; ii. módosíthatják az ellenjavallatokra vonatkozó információt; vagy iii. módosíthatják a forgalombahozatali engedély jogosultjának a címét. Az illetékes nemzeti hatóságok, az EMA és az iparági érdekelt felek egyetértenek abban, hogy a módosítások mindhárom fél számára nagy munkaterhet jelentenek, és hogy egyszerűsítésre van szükség. Ezért rendkívül fontosak a hatékony üzleti folyamatok.

A vállalkozó tanulmánya az EMA bizottságai közötti koordináció további javításának a lehetőségét is felveti. A tanulmány különösen olyan koordinációt javasolt, amely javítaná az eredmények következetességét azáltal, hogy jobban összehangolná a különböző bizottságok eljárásait az EMA végleges tudományos szakvéleményének és ajánlásainak elkészítése érdekében. A ritka betegségek kezelésére szolgáló és a gyermekeknek szánt gyógyszerekről szóló rendeletek folyamatban lévő felülvizsgálata keretében már jelenleg is zajlik a következőkre vonatkozó lehetséges megoldások értékelése: i. szükség esetén az érintett bizottságok munkájának jobb összehangolása; és ii. bizonyos eljárások egyszerűsítése és észszerűsítése.

A vizsgált időszak alatt, azaz 2010 és 2017 között megnőtt a kkv-k által a központosított engedélyezés iránt benyújtott kérelmek száma. Azonban a kkv-k által benyújtott kérelmek esetében magasabb a nem engedélyezett termékek aránya, mint a nagyvállalatok kérelmei esetében. A vállalkozó tanulmánya arra utal, hogy ennek az eljárás összetettsége, költsége és hozzáférhetősége lehet az oka. A kkv-k ráadásul nem rendelkeznek elegendő munkavállalóval és pénzeszközzel, ezért problémát jelentenek számukra a forgalombahozatali engedély megszerzésével kapcsolatos minőségi és klinikai követelmények. Ezenkívül a kkv-k nem feltétlenül maguk hozzák forgalomba az általuk kifejlesztett gyógyszereket. Ennek az az oka, hogy a nagyobb gyógyszeripari vállalatok a fejlesztés kései szakaszában gyakran felvásárolják az ígéretes gyógyszereket.

A 2010–2017 közötti vizsgált időszakban jelentős előrelépéseket lehetett megfigyelni a kkv-knak nyújtott támogatás terén, amelyek a következőkből eredtek:

- az EMA külön támogatási egységet és ösztönzőket hozott létre a kkv-k számára (például a szabályozással kapcsolatos iránymutatásokat és díjkedvezményeket),
- az illetékes nemzeti hatóságok korai szakaszban történő tanácsadással támogatták az iparági szereplőket – beleértve kkv-ket is.

Az európai gyógyszerstratégia keretében a kkv-k támogatásának további módjai is megvizsgálásra kerülnek majd.

Az egészségügyi ágazat a digitális transzformáció következtében jelenleg átalakulóban van. A tagállamokban és a hálózatban azonban a digitális szakértelem és az infrastruktúra még nem áll kellő mértékben rendelkezésre. Különösen a mesterséges intelligencia használata és a nagy adathalmazokra épülő technológia terén kell fejleszteni a szakértelmet és az infrastruktúrát.

Valamennyi érdekelt fél egyetértett azzal, hogy az EU telematikai rendszerei szintén fontos szerepet játszanak a rendszer hatékonyságában. Az érdekelt felek szerint azonban van még mit javítani. Az illetékes nemzeti hatóságok kiemelték, hogy az uniós telematika irányítási rendszere nagyon összetett. Néhány érdekelt kijelentette, hogy az EMA telematikai rendszerei és a nemzeti rendszerek nem teljesen kompatibilisek, ami párhuzamos munkavégzést eredményez. Több érdekelt és illetékes nemzeti hatóság is megjegyezte, hogy a hálózat az egész EU-ra kiterjedő informatikai rendszerek fejlesztése terén lemaradt. Ez a jogszabályokban előírt új informatikai rendszerek létrehozásának szükségességére, valamint a meglévő rendszerek jelenleg elérhető erőforrások segítségével történő fenntartására vonatkozó versengő prioritásokból eredeztethető. Ez a közeljövőben a hatékonyság csökkenéséhez vezethet, ha nem kerül sor a probléma kellő időben történő, gyors kezelésére.

Az illetékes nemzeti hatóságok, az EMA és a szakértők arról számoltak be, hogy a rendszer nehézségekkel küzd a gyógyszerek és az orvostechnikai eszközök közötti határesetnek minősülő termékek kezelése terén, amelyek nehezen sorolhatók be e kategóriák valamelyikébe (olyan termékekről van szó, amelyek esetében nem könnyű meghatározni az elsődleges hatásmódot). Az EU-n belüli innováció akadályozásának megelőzése érdekében javítani kell a koordinációt különböző ágazatok között. A gyógyszerek és egyéb termékkategóriák (emberi eredetű anyagok, biocid termékek és étrend-kiegészítők) közötti határesetnek minősülő termékek is problémát okoznak.

Az EMA bizottságainak és munkacsoportjainak gondoskodniuk kell arról, hogy új szakterületekhez is hozzáférjenek annak érdekében, hogy az új gyógyszerek fejlesztése és értékelése során a legújabb tudományos és technológiai ismereteket is figyelembe vegyék. Ez különösen igaz az olyan területeken, mint például a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények, amelyek esetében a termékek jelentős számára tekintettel egyre fontosabb az illetékes nemzeti hatóságoknál rendelkezésre álló szakértelem fejlesztése.

5. AZ ENGEDÉLYEZÉSI ÉS A NYOMONKÖVETÉSI ELJÁRÁSOKKAL KAPCSOLATBAN A COVID19-VILÁGJÁRVÁNY ALAPJÁN LEVONT KEZDETI TANULSÁGOK

A Covid19-világjárvány a gyógyszerekre vonatkozó európai szabályozási keret korlátait és erősségeit is kiemelte. Ezenkívül felhívta a figyelmet a rendszer továbbfejlesztésének a lehetőségeire is.

Az EU rövid úton elbírálta és engedélyezte a Covid19 elleni oltóanyagokat és terápiás készítményeket, ami az EMA által megvalósított gyors tudományos tanácsadásnak, valamint annak volt köszönhető, hogy az EMA folyamatosan értékelte a tudományos eredményeket, amint azok elérhetővé váltak, az Európai Bizottság pedig gyorsított eljárásokban hozta meg a döntéseit. A távolról lefolytatott ellenőrzések és klinikai vizsgálatok lehetővé tették, hogy a rendszer a világjárvány miatti korlátozások közepette is képes legyen folyamatosan jól teljesíteni, és egyúttal lehetővé tette a munkavégzés alternatív formáinak kipróbálását is. A szükséghelyzetre tekintettel a Covid19-oltóanyagokra és más gyógyszerekre vonatkozóan feltételes forgalombahozatali engedély kiadására került sor. A tagállamok az EMA harmonizált tanácsai alapján nemzeti szinten már a – feltételes – engedélyezésüket megelőzően is hozzáférést biztosítottak a Covid19 elleni gyógyszerekhez, az engedélyezés előtti alkalmazás[15] lehetőségén keresztül. Erre a feltételes forgalombahozatali engedély megadása előtt a remdesivir, a dexametazon és a SARS-CoV2 elleni monoklonális antitesteket tartalmazó gyógyszerek esetében került sor.[16]

A szükséghelyzetre való hatékony reagálás érdekében szabályozási rugalmasságot vezettek be például a címkézésre vonatkozó követelmények, valamint a döntéshozatali eljárás során tartott konzultáció határidői és nyelvei tekintetében. Ezt a rugalmasságot a Bizottság[17], az EMA[18] és a gyógyszerügynökségek vezetői[19] által kiadott több útmutató ismertette.

A világjárvány a gyógyszerfejlesztőkkel és a tudományos élet szereplőivel korai szakaszban folytatott párbeszéd fontosságát is megerősítette, amely szükséges ahhoz, hogy az EMA és az uniós hálózat szakértői lépést tartsanak a megjelenő új technológiákkal, és hogy felkészüljenek azok felülvizsgálatára – ez tette lehetővé a Covid19 elleni oltóanyagok és terápiák gyors jóváhagyását is. Az EMA Covid19-világjárvánnyal foglalkozó munkacsoportja[20] összehozta a hálózat legkiválóbb szakértőit, valamint gyorsan és összehangolt módon reagált a világjárványra, kezdve a gyógyszerfejlesztőknek korai szakaszban nyújtott tanácsoktól, a tudományos megbeszélések fontosabb mérföldköveknél történő irányításáig. A levont tanulságok már figyelembevételre kerültek az európai egészségügyi unióra vonatkozó

[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] Például: vaccinesstrategy_labellingpackaging_en.pdf (europa.eu) és guidance_regulatory_covid19_en.pdf (europa.eu)
[18] Az EMA iránymutatása a következő oldalon érhető el: Guidance for medicine developers and other stakeholders on COVID-19 | European Medicines Agency (europa.eu)
[19] Heads of Medicines Agencies:COVID-19 (hma.eu)
[20] Az EMA Covid19-világjárvánnyal foglalkozó munkacsoportja: 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

intézkedéscsomagban az EMA felhatalmazásának megerősítése érdekében;[21] az intézkedéscsomag javasolja, hogy az EMA-nál hivatalosan hozzanak létre egy ilyen munkacsoportot a jövőbeli népegészségügyi szükséghelyzetekre adott tudományos válaszlépések irányítása érdekében. A javaslat válságkezelési, valamint a gyógyszerhiány nyomon követésére és enyhítésére irányuló mechanizmusokat is tartalmaz.

A világjárvány rendkívül nagy terhet rótt az európai gyógyszeripari szabályozási hálózatra, és maximálisan igénybe vette annak erőforrásait. Az ügymenet folytonosságának biztosítása érdekében kockázatcsökkentő intézkedések alkalmazására került sor.[22] A tagállamok korábban példátlan munkateherről számoltak be a Covid19 elleni oltóanyagok és terápiás készítmények értékelése és a kapcsolódó farmakovigilancia terén is. A nagy munkateher egy rövid ideig fenntartható volt a szokásos ügymenetre gyakorolt súlyos hatás nélkül, és ezen időszak alatt figyelemreméltó eredményeket sikerült elérni a Covid19 elleni gyógyszerek és oltóanyagok fejlesztőinek nyújtott hatékony támogatás terén, továbbá négy Covid19-oltóanyag időben történő engedélyezésére is sor került. Azonban a hálózat kapacitásának fenntartására és megerősítésére irányuló megfelelő intézkedések megtétele érdekében további nyomon követésre van szükség.

Már folyamatban van annak vizsgálata, hogy – bizonyos módosításokkal – hogyan integrálható a szokásos ügyvitelbe a Covid19-világjárvány alatt alkalmazott eszköztár és rugalmasság; ezt – beleértve az erőforrásokra gyakorolt hatásokat is – az általános gyógyszerészeti jogszabályok európai gyógyszerstratégia keretében elvégzett értékelése során is vizsgálni fogják.

6. KÖVETKEZTETÉSEK

Ez a jelentés és az azt alátámasztó tanulmány igazolja, hogy az EU összességében jól működő gyógyszer-engedélyezési rendszerrel rendelkezik. Emellett azonban olyan kérdéskörökre is felhívják a figyelmet, amelyeken javítani lehetne. A tanulmány ezenkívül a közelmúltban bekövetkezett olyan diszruptív események – például a brexit és a Covid19-világjárvány – előtt készült, amelyek közvetlen hatást gyakoroltak a forgalombahozatali engedélyezési eljárásokra és az ügymenet folytonosságára. A későbbi intézkedések során figyelembe kell venni az említett eseményekből levont tanulságokat. A Covid19-világjárványból eddig levont konklúziókat a fenti 5. pont tárgyalja.

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

A gyógyszerekre vonatkozó szabályozás kihívásaival és a gyógyszerek életciklusának számos kérdésével foglalkozó európai gyógyszerstratégia[5] végrehajtása lehetőséget biztosít a fent ismertetett problémák holisztikus kezelésére.

A stratégia végrehajtása során több kérdés vizsgálatára is sor kerül majd, így például a következőkre: i. hogyan kezelendő a gyógyszerhiány; ii. hogyan észszerűsíthetők az eljárások és a gyógyszerek teljes életciklus alatti kezelése (ideértve a módosításokat is); iii. hogyan növelhető a különböző ágazatok és érintettek közötti együttműködés a gyógyszerek életciklusa alatt; és iv. hogyan biztosítható a hálózaton belül a megfelelő szakértelem. Ebből a kkv-knak is előnye származik majd amiatt, hogy lecsökkennek az iparági szereplők adminisztratív terhei, és megerősödik a gyógyszer-felügyeleti hatóságok, az egészségügyi technológiaértékeléssel foglalkozó szervek, valamint az árképzés, illetve a visszatérítés terén illetékes hatóságok közötti együttműködés.

Egyes tevékenységekhez jogszabály-módosításra lesz szükség, mások viszont nem jogalkotási eszközökkel is megvalósíthatók (például iránymutatásokkal és fokozott koordinációval). A konkrét jogalkotási aktusok szükségességét alátámasztó bizonyítékok a gyógyszerészeti jogszabályok európai gyógyszerstratégia keretében elvégzett értékelése során kerülnek majd összegyűjtésre.

Az európai gyógyszerstratégia[5] végrehajtásával kapcsolatos munka a következőkkel folytatott szoros együttműködés keretében fog megvalósulni: i. az EMA; ii. a tagállamok és az illetékes nemzeti hatóságok; iii. a betegek és az egészségügyi szakemberek szervezeteinek képviselői; iv. a tudományos élet képviselői; v. az iparág képviselői; és vi. más érdekelt felek.