EUROPEISKA
KOMMISSIONEN

Bryssel den 31.8.2021
COM(2021) 497 final

RAPPORT FRÅN KOMMISSIONEN TILL EUROPAPARLAMENTET OCH RÅDET

om erfarenheterna av förfarandena för godkännande och tillsyn av humanläkemedel, i enlighet med kraven i EU-lagstiftningen om humanläkemedel

1. INLEDNING

Kommissionen måste åtminstone vart tionde år[1] offentliggöra en allmän rapport om erfarenheterna av tillämpningen av förfarandena för humanläkemedel i förordning (EG) nr 726/2004[2] och i avdelning III kapitel 4 i direktiv 2001/83/EG[3]. Det finns olika förfaranden i EU för att bevilja godkännande för försäljning av läkemedel. Den här rapporten behandlar det centraliserade förfarandet, det decentraliserade förfarandet och förfarandet för ömsesidigt erkännande. Den tar inte upp det rent nationella förfarandet för godkännande av humanläkemedel i en enda medlemsstat[4].

Rapporten anknyter till EU:s läkemedelsstrategi[5] och utgör ett underlag för genomförandet av strategin när det gäller möjliga lagstiftningsåtgärder eller andra åtgärder. Den kompletterar också de pågående översynerna av i) EU-förordningarna om läkemedel för sällsynta sjukdomar och läkemedel för barn[6], och ii) förordningen om Europeiska läkemedelsmyndighetens avgiftssystem[7].

2. REGELVERK

Mål

EU:s regelverk om läkemedel har huvudsakligen följande tre mål:

- Det första målet är att garantera en hög hälsoskyddsnivå för EU:s befolkning, på två olika sätt. För det första vill man med regelverket så snabbt som möjligt kunna ge patienterna säkra och effektiva läkemedel av god kvalitet – både innovativa läkemedel och läkemedel som inte är patentskyddade. För det andra vill man förbättra övervakningen av läkemedel efter att de har godkänts genom stärkta förfaranden för övervakning och farmakovigilans.
- Det andra målet är att dels i) genomföra den inre marknaden för läkemedel, med beaktande av globaliseringen, dels ii) stödja den europeiska läkemedelssektorns konkurrenskraft.
- Det tredje målet är att rationalisera och förenkla regelverket i möjligaste mån, och därigenom förbättra dess övergripande samstämmighet, effektivitet och transparens i samband med pågående förfaranden och beslutsfattande.

---

[1] Artikel 86 i förordning (EG) nr 726/2004 och artikel 38.2 i direktiv 2001/83/EG.

[2] Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 726/2004 av den 31 mars 2004 om inrättande av gemenskapsförfaranden för godkännande av och tillsyn över humanläkemedel och veterinärmedicinska läkemedel samt om inrättande av en europeisk läkemedelsmyndighet (EUT L 136, 30.4.2004, s. 1).

[3] Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/83/EG av den 6 november 2001 om upprättande av gemenskapsregler för humanläkemedel (EGT L 311, 28.11.2001, s. 67).

[4] I avsnitt 2 redogörs närmare för de olika förfarandena för godkännande av humanläkemedel i EU.

[5] COM(2020) 761.

[6] *Joint evaluation of Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products and Regulation (EC) No 141/2001 on orphan medicinal products* (SWD(2020) 163 final).

[7] *Evaluation of the European Medicines Agency's fee system* (SWD(2019) 335 final).

Förfaranden för godkännande för försäljning

Alltsedan tillkomsten av EU:s första läkemedelslagstiftning 1965 har EU haft två övergripande mål, nämligen att säkerställa en hög skyddsnivå för folkhälsan och undanröja hindren för fri rörlighet för läkemedel. Genom rådets direktiv 65/65/EEG[8] fastställdes den grundläggande principen för EU:s läkemedelslagstiftning om att inga läkemedel får släppas ut på marknaden i EU utan att ha beviljats godkännande för försäljning. Godkännandet av läkemedel baseras på tre viktiga kriterier: kvalitet, säkerhet och effekt. Därigenom säkerställer man att de läkemedel som administreras till patienterna håller lämplig kvalitet och har ett positivt nytta/riskförhållande.

Sedan 1965 har en omfattande lagstiftning utarbetats. I hela Europeiska ekonomiska samarbetsområdet (EES) har det skett en successiv harmonisering av kraven för i) beviljande av godkännande för försäljning och ii) övervakning efter utsläppandet på marknaden. De två viktigaste rättsakterna som reglerar förfarandena för godkännande för försäljning av läkemedel i EES är förordning (EG) nr 726/2004 och direktiv 2001/83/EG, i deras ändrade lydelse. Det finns fyra olika förfaranden i EU för godkännande för försäljning: ett **centraliserat förfarande**, ett **decentraliserat förfarande**, ett **förfarande för ömsesidigt erkännande**, och ett rent **nationellt förfarande**.

Genom det centraliserade förfarandet kan sökanden få ett enda godkännande som gäller i hela EES[9]. Ansökan bedöms av Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) genom dess vetenskapliga kommitté för humanläkemedel och godkännandet beviljas av Europeiska kommissionen. Det centraliserade förfarandet för humanläkemedel används på två olika sätt. Användning är obligatorisk när det gäller i) läkemedel som utvecklats genom vissa biotekniska processer, ii) läkemedel för avancerad terapi, iii) läkemedel för sällsynta sjukdomar och iv) nya läkemedel för specifika sjukdomar, t.ex. cancer, aids och diabetes. Användning är frivillig när det gäller t.ex. i) läkemedel på andra sjukdomsområden, ii) läkemedel som innehåller en ny aktiv substans eller iii) befintliga läkemedel som innebär en betydande innovation.

Genom de andra förfarandena kan sökanden få nationellt godkännande på marknaden antingen i en enda medlemsstat (rent nationellt förfarande) eller i flera medlemsstater (decentraliserat förfarande och förfarande för ömsesidigt godkännande).

Förfarandet för ömsesidigt godkännande är tillämpligt när sökanden redan har ett nationellt godkännande för ett läkemedel i en medlemsstat och vill få nationellt godkännande för samma läkemedel i andra medlemsstater.

[8] Rådets direktiv 65/65/EEG av den 30 januari 1965 om tillnärmning av bestämmelser som fastställs genom lagar eller andra författningar och som gäller farmaceutiska specialiteter (EGT 22, 9.2.1965, s. 369).
[9] I enlighet med EES-avtalet krävs det ett nationellt förfarande/steg för att EU-godkännanden för försäljning ska få verkan i Norge, Island och Liechtenstein.

Det decentraliserade förfarandet är till för läkemedel som ännu inte är godkända i någon medlemsstat och för vilka sökanden vill få nationellt godkännande för försäljning i fler än en medlemsstat.

De ursprungliga förfarandena för godkännande för försäljning omgärdas av följande två typer av verksamhet:

- **Den första är verksamhet före godkännandet**. Detta är verksamhet som sker innan det görs en ansökan om godkännande för försäljning. Där ingår i) att söka och få vetenskaplig rådgivning, ii) att bedöma ansökningar om klassificering som särläkemedel, iii) att enas om pediatriska prövningsprogram samt iv) all annan formell och informell verksamhet till stöd för utveckling av läkemedel och för att förbereda ansökningar om godkännande för försäljning.
- **Den andra är verksamhet efter godkännandet**. Där ingår farmakovigilans (kontinuerlig säkerhetsövervakning), hänskjutanden och ändringar av godkännanden för försäljning.

Det europeiska nätverket för läkemedelstillsyn

Kommissionen, EMA och medlemsstaternas nationella behöriga myndigheter har bildat ett partnerskap för att fullgöra sina skyldigheter när det gäller godkännande och tillsyn av läkemedel. Partnerskapet kallas det europeiska nätverket för läkemedelstillsyn. I detta nätverk har parterna följande olika roller:

- EMA ansvarar för vetenskaplig utvärdering, tillsyn och säkerhetsövervakning av läkemedel i EU. EMA samordnar också vetenskaplig expertis från hela EU.
- De nationella behöriga myndigheterna ansvarar för beviljande av godkännande för försäljning och tillsyn av läkemedel i respektive medlemsstat. De förser också nätverket med expertis.
- Europeiska kommissionen beviljar EU-godkännanden för försäljning på grundval av EMA:s bedömningar. Den övervakar också nätverkets verksamhet. Kommissionen har dessutom ansvaret för att se till att EU-rätten tillämpas korrekt.

Parterna samarbetar nära med alla berörda parter som är involverade i utveckling, tillverkning, distribution och administrering av läkemedel. Syftet med detta samarbete är att säkerställa att målen i lagstiftningen uppnås.

3. BAKGRUNDSSTUDIE

Kommissionen anlitade en extern uppdragstagare för att göra en studie som underlag för den här rapporten.

Studie av erfarenheterna från tillämpningen av förfarandena för godkännande och övervakning av humanläkemedel[10]

I studien bedöms i vilken utsträckning det nuvarande systemet för godkännande för försäljning av läkemedel uppfyllde sina mål under perioden 2017–2020. I studien har man gjort följande:

- Samlat in tillgängliga uppgifter och belägg om tillämpningen av det centraliserade förfarandet, det decentraliserade förfarandet och förfarandet för ömsesidigt erkännande.
- Bedömt de befintliga förfarandenas och det befintliga systemets ändamålsenlighet (uppnående av målen i regelverket) och effektivitet (förhållandet mellan använda resurser och genomförda ändringar, vilket innefattade en granskning av den administrativa belastningen och regelbördan), inklusive en bedömning av hur det europeiska nätverket för läkemedelstillsyn fungerar.
- Sammanfattat resultaten av studiens analys och dragit användbara slutsatser baserat på de lärdomar som gjorts i samband med förfarandena för godkännande för försäljning.
- Jämfört den nuvarande situationen med resultaten från 2010 års studie och undersökt hur rekommendationerna från 2010 har tillämpats.
- Identifierat alternativ för eventuella åtgärder som kan behöva vidtas för att undanröja befintliga hinder för optimala resultat samt analyserat varje alternativs för- och nackdelar.

Som ett led i studien genomfördes samråd där berörda parter fick redogöra för sina erfarenheter av systemet och dess styrkor och svagheter. Samråden omfattade

- intervjuer med företrädare för EMA, kommissionen, Europaparlamentet, läkemedelsindustrin, paraplyorganisationer, patientgrupper och organisationer för vårdpersonal,
- deltagande i möten i kommittén för humanläkemedel och samordningsgruppen för förfarandet för ömsesidigt erkännande och decentraliserat förfarande – humanläkemedel (CMDh),
- en skriftlig enkät till de nationella behöriga myndigheterna, med uppföljande telefonsamtal,
- en webbenkät till experterna i kommittéerna,
- fallstudier i åtta medlemsstater (Danmark, Estland, Italien, Portugal, Spanien, Sverige, Tjeckien och Tyskland).

[10] *Inför länk vid offentliggörandet*.

Granskning av studierapporten

Kommissionen har låtit medlemsstaterna, EMA och CMDh ta del av uppdragstagarens studie. De synpunkter som kom in bidrog till att klargöra inkonsekvenser och felaktigheter i studien. Synpunkterna innehåll också förslag på att ytterligare undersöka vissa potentiella effektivitetsvinster och anpassa de nuvarande förfarandena och riktlinjerna till innovation och nya vetenskapliga rön. Det som efterlystes var t.ex. i) ökad samordning mellan nationella behöriga myndigheter, EMA och organ för utvärdering av medicinska metoder (HTA) och ii) åtgärder för att rationalisera förfarandena så att den administrativa belastningen minskar. Synpunkterna gällde också frågor som inte granskats närmare i studien, men som kommer att behandlas vid utvärderingen av läkemedelslagstiftningen som ett led i EU:s läkemedelsstrategi.

4. RESULTATEN FRÅN STUDIEN AV FÖRFARANDENA FÖR GODKÄNNANDE OCH ÖVERVAKNING

Ändamålsenlighet

Rent allmänt visar uppgifterna i uppdragstagarens studie att det nuvarande systemet med EU-förfaranden för godkännande för försäljning och övervakning av humanläkemedel uppnår målen i lagstiftningen. I synnerhet garanterar det nuvarande systemet en hög hälsoskyddsnivå för EU:s befolkning. Systemet uppnår också i stort sett målet att genomföra den inre marknaden för läkemedel och skapa ett regelverk som stöder den europeiska läkemedelssektorns konkurrenskraft.

Den snabba vetenskapliga utvecklingen har inneburit nya utmaningar för systemet, som därför har blivit mer komplext till följd av i) inrättandet av nya kommittéer genom ny EU-lagstiftning, ii) inrättandet av expertgrupper, och iii) införandet av andra nya krav i EU-lagstiftningen. Den snabba vetenskapliga utvecklingen innebär en fortsatt utmaning för systemet, och det kommer att föreslås lösningar i samband med genomförandet av EU:s läkemedelsstrategi.

Under perioden 2010–2017 skedde en generell ökning av verksamheten i nätverket. Till följd av detta har de flesta nationella behöriga myndigheter anslagit mer resurser till verksamhet på EU-nivå. EMA:s ökade avgiftsintäkter (+81 %) är också en indikator på den ökade verksamheten, eftersom sökandena betalar dessa avgifter för att ansöka om och bibehålla godkännanden för försäljning. Antalet första ansökningar om godkännande för försäljning enligt det centraliserade förfarandet var stabilt med ca 90–100 ansökningar per år. Men dessa nya ansökningar innebär att EMA, nätverket och kommissionen måste hantera ett ständigt ökande antal godkända läkemedel. Detta har lett till en konstant ökning av antalet förfaranden efter utsläppandet på marknaden och av tillsyn och övervakning i anslutning till detta. Antalet ändringar av godkännanden för

försäljningar enligt det centraliserade systemet ökade från ca 4 100 ändringar 2010 till ungefär 6 200 ändringar 2017 (+51 %)[11].

Dessutom skedde en betydande ökning av antalet förfaranden för särläkemedel, pediatriska läkemedel och läkemedel för avancerad terapi under 2010–2017. Antalet ansökningar om klassificering som läkemedel för avancerad terapi ökade från 20 ansökningar 2013 till 46 ansökningar 2017 (dvs. en ökning med 130 %), medan antalet ansökningar om klassificering som särläkemedel ökade från 174 till 260 (+49 %) och det totala antalet förfaranden för pediatriska prövningsprogram ökade från 318 till 421 (+32 %).

Antalet slutförda förfaranden för ömsesidigt erkännande och decentraliserade förfaranden har varierat mellan 1 640 förfaranden 2010 och 1 515 förfaranden 2017. Under 2014 sjönk antalet till 1 046 förfaranden[12]. CMDh spelar en viktig roll i förfarandet för ömsesidigt erkännande och det decentraliserade förfarandet, både före och efter godkännandet. Den främjar harmonisering t.ex. genom att behandla meningsskiljaktigheter mellan medlemsstaterna och bistå med allmän rådgivning om förfarandena. Under studieperioden har antalet hänskjutanden vid förfarandena för ömsesidigt erkännande och de decentraliserade förfarandena minskat efter hand genom dialog, samarbete och harmonisering i CMDh. Antalet hänskjutanden till CMDh minskade från 17 under 2010 till 11 under 2017, med en topp på 27 hänskjutanden under 2012. Antalet hänskjutanden från CMDh till kommittén för humanläkemedel minskade från 7 under 2010 till ett enda under 2017[12].

Läkemedelsutvecklarnas förfrågningar till EMA om vetenskaplig rådgivning och protokollhjälp ökade med över 40 % mellan 2010 och 2017. Uppdragstagarens studie bekräftade att EMA har säkerställt att processen fungerar väl.

Stödet till små och medelstora företag har ökat, från 366 förfrågningar till EMA om vetenskaplig rådgivning 2013 till 436 förfrågningar 2017. Under den perioden stod små och medelstora företag för ca 30 % av alla förfrågningar till EMA.

Även om verksamheten har ökat har systemet i allmänhet fortsatt att vara ändamålsenligt. Det använder sig av resurser och expertis från medlemsstaterna och drar nytta av de mekanismer som säkerställer intern samordning inom systemet. EMA har en viktig roll när det gäller ändamålsenlig samordning och vetenskapligt stöd, och anpassar organisationsstruktur och arbetsmetoder för att säkerställa effektivitetsvinster som svar på den ökade verksamheten.

Harmoniseringen och samordningen mellan medlemsstaterna har ökat efter EU:s utvidgningar. Fler och fler medlemsstater har börjat ta mer aktiv del i förfarandena i) som medföredragande, ii) som del av en multinationell bedömningsgrupp inom det

[11] Baserat på EMA:s allmänt tillgängliga årsrapporter: https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes.
[12] CMDh-statistik 2017.

centraliserade förfarandet eller iii) som referensmedlemsstat inom förfarandet för ömsesidigt erkännande och det decentraliserade förfarandet.

Marknadskontrollen och säkerhetsövervakningen har förstärkts. Ett av de viktigaste skälen till detta var genomförandet av den reviderade lagstiftningen om säkerhetsövervakning av läkemedel (farmakovigilans) 2012, som ledde till i) inrättandet av kommittén för säkerhetsövervakning och riskbedömning av läkemedel och ii) en samordnad signalhantering. Det har skett en kontinuerlig utveckling av systemen för att rapportera biverkningar av läkemedel. Patienterna har varit särskilt viktiga för denna utveckling och rapporterat in ca 90 000 biverkningar under 2017[13]. Förfarandet för granskning av läkemedelsbiverkningar identifierar potentiella risker och ger EMA, kommissionen och de nationella behöriga myndigheterna möjlighet att vidta nödvändiga regleringsåtgärder. Identifieringen av dessa potentiella risker skulle kunna förbättras ytterligare genom att man integrerar observationsdata i förfarandena. Då krävs det att man utvecklar expertis om stordata, farmakoepidemiologi och statistik.

Effektivitet

Det framgår av studien att det nuvarande systemet kan bli effektivare. Nedan anges de delar som främst behöver förbättras, och de kommer att undersökas närmare och behandlas i samband med genomförandet av EU:s läkemedelsstrategi.

Redan före covid-19-pandemin påtalade några av de experter som deltog i studieenkäten att det inte fanns tillräcklig kapacitet att hantera akuta behov och brister med hjälp av förfaranden efter utsläppandet på marknaden. Enligt experterna klarar systemet inte av att reagera snabbt och flexibelt beroende på a) avsaknaden av EU-lagstiftning för att hantera akuta behov (t.ex. läkemedelsbrist) och b) komplicerade metoder för samordning mellan medlemsstaterna och mellan kommittéerna som bör rationaliseras och formaliseras.

De nyligen antagna förslagen till rättsakter i paketet för en europeisk hälsounion[14] kommer att underlätta hantering av akuta behov. Dessutom kommer man i EU:s läkemedelsstrategi[5] att undersöka hur man ska minimera risken för läkemedelsbrist genom specifika åtgärder, t.ex. i) skärpta krav på försörjning, ii) snabbare anmälning av brister och tillbakadragande, iii) ökad insyn i lagerhållning och iv) starkare samordning på EU-nivå för att övervaka, hantera och undvika brister. I EU:s läkemedelsstrategi kommer man dessutom att överväga åtgärder som förbättrar tillgången till läkemedel i hela EU. Detta kommer också att bidra till att förebygga läkemedelsbrister.

Utöver godkännandeprocessen som regleras genom EU:s läkemedelslagstiftning visar uppdragstagarens studie att det finns utrymme att förbättra samordningen mellan EMA,

[13] EMA:s årsrapport 2017.

[14] Paketet för en europeisk hälsounion: COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726 och COM (2020) 727.

de nationella behöriga myndigheterna och organen för utvärdering av medicinska metoder (HTA). Detta skulle bidra till att patienterna snabbare får tillgång till läkemedel. Sedan 2010 har det skett en ökning av förfaranden för gemensam vetenskaplig rådgivning från EMA/de nationella behöriga myndigheterna å ena sidan och HTA-organ/myndigheter med ansvar för prissättningen/myndigheter med ansvar för ersättning å andra sidan. Genom förfaranden för gemensam vetenskaplig rådgivning kan kliniska prövningar och studier som bygger på observationsdata utformas för att ta fram belägg som kan användas på flera områden. Dessa belägg kan användas som underlag inte bara för godkännanden för försäljning utan också för nationella beslut om prissättning och ersättning. Detta skulle ge patienterna snabbare tillgång till läkemedel. Det därigenom ökade samarbetet mellan dessa parter kommer att göra systemet effektivare, vilket gynnar patienterna i form av bättre tillgång till läkemedel.

För att minska den administrativa belastningen och frigöra värdefull tid och kapacitet för både tillsynsmyndigheter och industrin bör man förenkla regelverket. Det kan göras genom rationalisering av vissa förfaranden och processer. För att rationalisera godkännandeförfarandena och optimera ramverket för godkännande kan man överväga att samarbeta med – och låta sig inspireras av – andra fullt utvecklade system i andra delar av världen.

Ändringar av villkoren i ett godkännande för försäljning kan vara av mycket varierande slag. Man kan t.ex. i) lägga till en ny terapeutisk indikation för läkemedlet, ii) ändra uppgifterna om kontraindikationer eller iii) ändra adress till en innehavare av godkännande för försäljning. De nationella behöriga myndigheterna, EMA och branschaktörerna är ense om att ändringarna är mycket betungande för alla tre parterna och att det behövs en förenkling. Därför är det mycket viktigt med effektiva verksamhetsprocesser.

I uppdragstagarens studie pekas också på möjligheten av att fortsätta att förbättra samarbetet mellan EMA:s kommittéer. I studien föreslås särskilt sådan samordning som skulle ge enhetligare resultat, genom bättre samstämmighet mellan kommittéernas förfaranden med avseende på EMA:s slutliga vetenskapliga yttranden och rekommendationer. I den pågående översynen av förordningarna om läkemedel för sällsynta sjukdomar respektive läkemedel för barn bedöms redan lämpliga lösningar för att i) vid behov bättre samordna arbetet i de berörda kommittéerna och ii) förenkla och rationalisera vissa förfaranden.

Små och mellanstora företags ansökningar om centraliserat godkännande har ökat under studieperioden 2010–2017. Andelen läkemedel som inte blir godkända är dock större för ansökningar från små och medelstora företag än för ansökningar från större företag. I uppdragstagarens studie anges att detta kan bero på förfarandets komplexitet, kostnad och tillgänglighet. Små och medelstora företag har inte heller tillräckligt med personal och pengar för att klara kvalitetskraven och de kliniska kraven för att beviljas godkännande för försäljning. Dessutom är det inte säkert att små och medelstora företag

själva saluför de läkemedel som de har utvecklat, eftersom lovande läkemedel ofta förvärvas av större läkemedelsföretag i ett sent skede av utvecklingen.

Under perioden 2010–2017 har stödet till små och medelstora företag ökat väsentligt tack vare

- EMA:s särskilda stödfunktion och incitament för små och medelstora företag (t.ex. vägledning om gällande regler samt avgiftsincitament),
- nationella behöriga myndigheters stöd till företagen – inklusive små och medelstora företag – i form av rådgivning i ett tidigt skede.

Andra sätt att stödja små och medelstora företag kommer att undersökas som ett led i EU:s läkemedelsstrategi.

Den digitala omställningen är på väg att förändra hälso- och sjukvårdssektorn. Men varken i medlemsstaterna eller nätverket har man i nuläget tillräcklig tillgång till digital expertis och infrastruktur. Utveckling av expertis och infrastruktur behövs särskilt inom stordata och användningen av artificiell intelligens.

Alla berörda parter var överens om att EU:s telematiksystem också är viktiga bidrag till systemets effektivitet. De påpekade också att det finns utrymme för förbättringar. De nationella behöriga myndigheterna påtalade den mycket komplicerade styrningen av EU:s telematik. Vissa berörda parter angav att EMA:s telematiksystem och de nationella systemen inte var helt kompatibla, vilket orsakar dubbelarbete. Flera berörda parter och nationella behöriga myndigheter påpekade att nätverket inte kunde hålla jämna steg med utvecklingen av EU-täckande it-system. Anledningen är konkurrerande prioriteringar mellan behovet av att inrätta nya it-system enligt lagstadgade krav och behovet av att upprätthålla befintliga system med de nuvarande resurserna. Utan snabba och smidiga åtgärder kan detta kan leda till minskad effektivitet inom en nära framtid.

De nationella behöriga myndigheterna, EMA och experterna rapporterade att systemet har svårt att hantera produkter som ligger på gränsen mellan läkemedel och medicintekniska produkter och som är svåra att klassificera som det ena eller det andra (dvs. produkter vars primära verkningssätt inte är lätt att fastställa). Det behövs bättre samordning mellan sektorerna för att inte försvåra innovation i EU. Gränsdragningen mellan läkemedel och andra produktkategorier (dvs. ämnen av mänskligt ursprung, biocider och kosttillskott) medför också problem.

EMA:s kommittéer och arbetsgrupper måste skaffa sig ökad tillgång till nya kompetensområden för att kunna integrera de senaste vetenskapliga och tekniska rönen i utvecklingen och utvärderingen av nya läkemedel. Detta gäller särskilt läkemedel för avancerad terapi där utveckling av expertis hos de nationella behöriga myndigheterna har blivit allt viktigare, med tanke på hur många produkter som utvecklas.

5. DE FÖRSTA LÄRDOMARNA AV COVID-19 NÄR DET GÄLLER FÖRFARANDENA FÖR GODKÄNNANDE OCH ÖVERVAKNING

Covid-19-pandemin har belyst både begränsningarna och styrkorna hos EU:s regelverk för läkemedel. Den har också visat vilka förbättringar som kan göras.

EU kunde snabbt bedöma och godkänna vacciner och behandlingar mot covid-19 tack vare snabb vetenskaplig rådgivning, EMA:s löpande utvärdering av vetenskapliga belägg allt eftersom de blivit tillgängliga och Europeiska kommissionens påskyndade beslutsförfaranden. Genom inspektioner och kliniska prövningar på distans har systemet kunnat fortsätta fungera trots de restriktioner som pandemin medfört, och man har kunnat testa alternativa arbetssätt. Vacciner och andra läkemedel mot covid-19 har beviljats villkorliga godkännanden för försäljning med tanke på nödsituationen. Medlemsstaterna har gett nationell tillgång till läkemedel mot covid-19 innan de beviljats (villkorligt) godkännande, genom mekanismerna för användning av humanitära skäl (compassionate use)[15] på grundval av harmoniserad rådgivning från EMA. Detta gjordes för remdesivir innan det villkorliga godkännandet för försäljning beviljades, för dexametason och för läkemedel bestående av monoklonala antikroppar mot SARS-CoV-2[16].

För en effektiv hantering av krisen infördes viss flexibilitet i regelverket, t.ex. i fråga om märkningskrav samt tidsfrister och språkanvändning vid samråd under beslutsprocessen. Det har redogjorts för denna flexibilitet i flera vägledningar som offentliggjorts av kommissionen[17], EMA[18] och läkemedelsmyndigheternas chefer[19].

Pandemin har också förstärkt vikten av tidig dialog med läkemedelsutvecklare och den akademiska världen för att EMA och EU-nätverkets experter ska kunna hålla sig uppdaterade om nya tekniska rön och vara redo att granska dem, vilket gjort det möjligt att snabbt godkänna vacciner och behandlingar mot covid-19. EMA:s arbetsgrupp för covid-19-pandemin[20] har samlat den främsta expertisen från nätverket och säkerställt en snabb och samordnad reaktion på pandemin, från att ge utvecklare rådgivning i ett tidigt skede till att styra vetenskapliga diskussioner vid viktiga etapper. Denna lärdom har redan behandlats i hälsounionspaketets förslag om att stärka EMA:s mandat[21], med

[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] T.ex. vaccinesstrategy_labellingpackaging_en.pdf (europa.eu) och guidance_regulatory_covid19_en.pdf (europa.eu).
[18] EMA:s vägledning: Guidance for medicine developers and other stakeholders on COVID-19Europeiska läkemedelsmyndigheten (europa.eu).
[19] Heads of Medicines Agencies: COVID-19 (hma.eu).
[20] EMA:s arbetsgrupp för covid-19-pandemin: 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.
[21] COM (2020) 725.

förslag om att formellt inrätta en sådan arbetsgrupp vid EMA för att styra det vetenskapliga svaret på framtida hot mot folkhälsan. Samma förslag innehåller också mekanismer för krishantering och för övervakning och minskning av brister.

Pandemin har inneburit en extremt hög belastning för det europeiska nätverket för läkemedelstillsyn, och tänjt på resurserna. Det har vidtagits riskreducerande åtgärder för att säkerställa driftskontinuitet[22]. Medlemsstaterna har rapporterat om en tyngre arbetsbörda än någonsin tidigare, både när det gäller bedömning och farmakovigilans av vacciner och behandlingar mot covid-19. Den tunga arbetsbördan gick att hantera under en kort tid utan allvarliga konsekvenser för den vanliga verksamheten och med anmärkningsvärda resultat i form av effektivt stöd till utvecklare av läkemedel och vacciner mot covid-19 och snabbt godkännande av fyra vacciner mot covid-19. Men det krävs vidare övervakning för att man ska kunna säkerställa att rätt åtgärder vidtas för att upprätthålla och stärka nätverkets kapacitet.

Möjligheten att med vissa justeringar integrera de verktyg och den flexibilitet som använts under covid-19-pandemin i den normala verksamheten har redan övervägts och kommer att utvärderas ytterligare, inklusive inverkan på resurserna, i samband med utvärderingen av den allmänna läkemedelslagstiftningen inom ramen för EU:s läkemedelsstrategi.

6. SLUTSATSER

Föreliggande rapport och den studie som bildat underlag för den visar att EU har ett välfungerande system för godkännande av läkemedel. Men det framgår också att det finns förbättringsutrymme. Dessutom gjordes studien före den senaste tidens störningar som haft en direkt inverkan på förfarandena för godkännande för försäljning och driftskontinuiteten, såsom Brexit och covid-19-pandemin. Lärdomarna av detta bör tas till vara vid eventuella uppföljningar. Vissa tidiga lärdomar från covid-19-pandemin diskuteras i avsnitt 5.

Genomförandet av EU:s läkemedelsstrategi, som omfattar utmaningar för regelverket för läkemedel och en rad frågor under läkemedlens livscykel, gör det möjligt att ta ett helhetsgrepp på de frågor som behandlas i rapporten.

Vid genomförandet kommer flera frågor att undersökas närmare, t.ex. i) hur läkemedelsbrister ska hanteras, ii) hur de olika förfarandena och hanteringen av produkternas livscykel ska rationaliseras, även ändringsförfarandena, iii) hur samarbetet ska ökas mellan sektorer och berörda parter under läkemedlens hela livscykel och iv) hur man ska se till att det finns relevant expertis i nätverket. Detta kommer också att gynna små och medelstora företag genom minskad administrativ belastning för

[22] EMRN COVID19 BCP (europa.eu).

företagen och ökat samarbete mellan tillsynsmyndigheter, HTA-organ och myndigheter med ansvar för prissättningen och för ersättning.

För vissa åtgärder krävs ändringar i lagstiftningen, men andra åtgärder kan uppnås på annat sätt (t.ex. genom riktlinjer och förstärkt samarbete). Belägg för behovet av särskilda lagstiftningsåtgärder kommer att samlas in genom en utvärdering av läkemedelslagstiftningen inom ramen för EU:s läkemedelsstrategi.

Arbetet med att genomföra EU:s läkemedelsstrategi[5] kommer att utföras i nära samarbete med i) EMA, ii) medlemsstaterna och de nationella behöriga myndigheterna, iii) företrädare för patientorganisationer och organisationer för vårdpersonal, iv) den akademiska världen, v) industrin och iv) andra berörda parter.