EUROOPAN
KOMISSIO

Bryssel 31.8.2021
COM(2021) 497 final

KOMISSION KERTOMUS EUROOPAN PARLAMENTILLE JA NEUVOSTOLLE

ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden lupa- ja valvontamenettelyistä saaduista kokemuksista ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevan EU:n lainsäädännön vaatimusten mukaisesti

1. JOHDANTO

Komission on julkaistava vähintään 10 vuoden välein[1] yleinen kertomus asetuksessa (EY) N:o 726/2004[2] ja direktiivin 2001/83/EY[3] III osaston 4 luvussa vahvistettujen ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevien menettelyjen perusteella saaduista kokemuksista. EU:ssa on erilaisia menettelyjä lääkkeiden myyntiluvan myöntämiseksi. Tämä kertomus kattaa keskitetyt, hajautetut ja keskinäisen tunnustamisen menettelyt. Se ei kata puhtaasti kansallista ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden myyntilupamenettelyä yksittäisessä jäsenvaltiossa.[4]

Tämä kertomus liittyy Euroopan lääkestrategiaan,[5] ja siinä kerrotaan lääkestrategian täytäntöönpanosta mahdollisten lainsäädännöllisten ja muiden toimien osalta. Se myös täydentää seuraavien asiakirjojen vireillä olevaa tarkistusta: i) harvinaisiin sairauksiin tarkoitettuja lääkkeitä ja lapsille tarkoitettuja lääkkeitä koskevat EU:n säännökset[6] sekä ii) Euroopan lääkeviraston maksujärjestelmää koskeva säännös[7].

2. SÄÄNTELYKEHYS JA -KONTEKSTI

Kehyksen tavoitteet

EU:n lääkkeiden sääntelykehyksellä on kolme keskeistä tavoitetta, jotka esitellään seuraavissa kohdissa.

- Sen ensimmäinen tavoite on taata eurooppalaisille korkeatasoista terveyden suojelua. Se pyrkii tekemään tämän kahdella tavalla. Ensinnäkin sääntelykehyksellä pyritään tarjoamaan potilaille mahdollisimman nopeasti korkealaatuisia, turvallisia ja tehokkaita lääkkeitä – sekä innovatiivisia että patenttisuojattomia. Toiseksi sen avulla pyritään lisäämään lääkkeiden seurantaa niiden hyväksynnän jälkeen, ja tämä toteutetaan vahvistettujen seuranta- ja lääketurvamenettelyjen avulla.
- Sen toisena tavoitteena on: i) loppuunsaattaa farmaseuttisten tuotteiden sisämarkkinat ottaen huomioon globalisaation vaikutukset ja ii) tukea Euroopan lääketeollisuuden kilpailukykyä.
- Sen kolmantena tavoitteena on järkeistää ja yksinkertaistaa sääntelyjärjestelmää mahdollisimman paljon, mikä parantaa sen yleistä johdonmukaisuutta, tehokkuutta ja avoimuutta menettelyissä ja päätöksenteossa.

---

[1] Asetuksen (EY) N:o 726/2004 86 artikla ja direktiivin 2001/83/EY 38 artikla 2 kohta.

[2] Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 726/2004, annettu 31. maaliskuuta 2004, ihmisille ja eläimille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkeviraston perustamisesta (EUVL L 136, 30.4.2004, s. 1).

[3] Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivi 2001/83/EY, annettu 6 päivänä marraskuuta 2001, ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön säännöistä, EYVL L 311, 28.11.2001, s. 67.

[4] Kertomuksen osassa 2 annetaan lisätietoja ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden erilaisista myyntilupamenettelyistä EU:ssa.

[5] COM(2020) 761.

[6] Lastenlääkkeitä koskeva asetuksen (EY) N:o 1901/2006 ja harvinaislääkkeitä koskevan asetuksen (EY) N:o 141/2001 (SWD(2020) 163 final) yhteinen arviointi.

[7] Euroopan lääkeviraston maksujärjestelmän arviointi (SWD(2019) 335 final).

Myyntilupamenettelyt

EU on ensimmäisestä lääkesäännöksestään eli vuodesta 1965 alkaen tavoitellut kahta yleistavoitetta: taata kansanterveyden korkeatasoinen suojelu ja poistaa esteet lääkkeiden vapaan liikkuvuuden tieltä. Neuvoston direktiivi 65/65/ETY[8] sisältää EU:n lääkelainsäädännön perusperiaatteen, jonka mukaan mitään lääkettä ei saa saattaa EU:n markkinoille, ellei kyseiselle tuotteelle ole myönnetty myyntilupaa. Lääkkeiden hyväksyminen perustuu kolmeen keskeiseen kriteeriin: laatuun, turvallisuuteen ja tehokkuuteen. Näin voidaan varmistaa, että potilaille annettavat tuotteet ovat laadultaan sopivia ja tarjoavat positiivisen hyöty-riskisuhteen.

Vuodesta 1965 alkaen on luotu laaja lainsäädäntökokoelma. Seuraavat vaatimukset on asteittain yhdenmukaistettu koko Euroopan talousalueella (ETA): i) myyntilupien myöntäminen ja ii) markkinoille saattamisen jälkeinen seuranta. Kaksi tärkeintä säädöstä, joilla tällä hetkellä säännellään lääkkeiden myyntilupamenettelyjä ETA-alueella, ovat asetus (EY) N:o 726/2004 ja direktiivi 2001/83/EY, sellaisena kuin se on muutettuna. Myyntiluvan saamiseksi on neljä eri menettelyä: **keskitetty menettely**, **hajautettu menettely, keskinäisen tunnustamisen menettely** ja puhtaasti **kansallinen menettely**.

Keskitetyn menettelyn avulla hakija voi saada yhden ETA-alueen laajuisen luvan[9]. Euroopan lääkevirasto (EMA) käyttää hakemuksen arvioinnissa ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevää komiteaansa ja Euroopan komission myöntämää lupaa. Ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden keskitetyssä menettelyssä on kaksi eri ”soveltamisaluetta”. Ensimmäinen soveltamisalueista on pakollinen, ja se kattaa: i) tietyillä bioteknologisilla menetelmillä kehitetyt lääkkeet, ii) pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävät lääkkeet, iii) harvinaisiin sairauksiin tarkoitetut lääkkeet ja iv) uudet lääkkeet tiettyihin sairauksiin, kuten syöpään, AIDSiin ja diabetekseen. Toinen soveltamisalueista on valinnainen, ja se kattaa esimerkiksi: i) lääkkeet muihin sairauksiin, ii) lääkkeet, jotka sisältävät uutta vaikuttavaa ainetta tai iii) olemassa olevat lääkkeet, joihin liittyy merkittävä innovaatio.

Muiden menettelyjen avulla hakija voi saada kansallisen luvan vain yhden jäsenvaltion markkinoille (puhtaasti kansallinen menettely) tai useiden jäsenvaltioiden markkinoille (hajautettu menettely ja tunnustamismenettely).

Tunnustamismenettelyä sovelletaan, kun hakijalla on jo kansallinen lupa lääkkeelle yhdessä jäsenvaltiossa ja hän haluaa saada kansallisen luvan samalle lääkkeelle muissa jäsenvaltioissa.

[8] Neuvoston direktiivi 65/65/ETY, annettu 26 päivänä tammikuuta 1965, lääkevalmisteita koskevien lakien, asetusten ja hallinnollisten määräysten lähentämisestä, EYVL 22, 9.2.1965, s. 369.

[9] ETA-sopimuksen mukaisesti Norjassa, Islannissa ja Liechtensteinissa EU:n myyntilupia varten tarvitaan kansallinen menettely/vaihe.

Hajautettu menettely koskee tuotteita, joille ei ole vielä myönnetty lupaa missään jäsenvaltiossa ja joille hakija haluaa saada kansallisen myyntiluvan useammassa kuin yhdessä jäsenvaltiossa.

Alkuperäiset myyntilupamenettelyt perustuvat kahdentyyppisiin toimiin, jotka on esitetty seuraavissa kohdissa.

- **Ensimmäiset toimet edeltävät myyntilupaa**. Niitä toteutetaan ennen myyntilupahakemuksen jättämistä. Tällaisia toimia ovat muun muassa seuraavat: i) tieteellisen neuvonnan pyytäminen ja vastaanottaminen, ii) harvinaislääkehakemusten arviointi, iii) lastenlääkkeitä koskevista tutkimusohjelmista sopiminen ja iv) muut muodolliset ja epämuodolliset toimet lääkkeiden kehittämisen tukemiseksi ja myyntilupahakemusten valmistelemiseksi.
- **Toisia toimia toteutetaan myyntiluvan myöntämisen jälkeen**. Näihin kuuluvat lääketurvatoimet (jatkuva turvatoiminta), lausuntopyynnöt ja myyntilupien ehtojen muutokset.

Euroopan lääkealan sääntelyverkosto

Komissio, Euroopan lääkevirasto ja jäsenvaltioiden kansalliset toimivaltaiset viranomaiset ovat solmineet kumppanuuden täyttääkseen lääkkeiden myöntämis- ja valvontavelvoitteensa. Tätä kumppanuutta kutsutaan yleensä ”Euroopan lääkealan sääntelyverkostoksi”. Verkoston osapuolilla on seuraavassa esitetyt erilaiset roolit.

- Euroopan lääkevirasto vastaa lääkkeiden tieteellisestä arvioinnista, valvonnasta ja lääketurvatoiminnasta EU:ssa. Euroopan lääkevirasto myös koordinoi koko EU:n tieteellistä asiantuntemusta.
- Kansalliset toimivaltaiset viranomaiset ovat vastuussa kansallisten myyntilupien myöntämisestä ja lääkkeiden valvonnasta kussakin jäsenvaltiossa. Ne myös tarjoavat asiantuntemusta verkostolle.
- Euroopan komissio myöntää EU:n myyntiluvat Euroopan lääkeviraston arvioinnin perusteella. Se myös valvoo verkoston toimintaa. Tämän lisäksi se on vastuussa siitä, että EU:n lainsäädäntöä sovelletaan oikein.

Osapuolet tekevät tiivistä yhteistyötä kaikkien sidosryhmien kanssa, jotka osallistuvat lääkkeiden kehittämiseen, valmistukseen, jakeluun ja annosteluun. Tällä yhteistyöllä pyritään varmistamaan, että lainsäädännön tavoitteet saavutetaan.

3. TAUSTATUTKIMUS

Komissio palkkasi ulkopuolisen toimeksisaajan toimittamaan tätä kertomusta tukevan tutkimuksen.

Tutkimus ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevien myyntilupa- ja seurantamenettelyjen perusteella saaduista kokemuksista[10]

Tutkimuksessa arvioitiin, missä määrin nykyinen lääkkeiden myyntilupajärjestelmä saavutti tavoitteensa vuosina 2010–2017. Tutkimuksessa:

- kerättiin saatavilla olevia tietoja ja todisteita keskitetyn menettelyn, hajautetun menettelyn ja tunnustamismenettelyn toiminnasta;
- arvioitiin menettelyjen ja käytössä olevan järjestelmän vaikuttavuutta (sääntelykehyksen asettamien tavoitteiden saavuttamista) ja tehokkuutta (käytettyjen resurssien ja tehtyjen muutosten välistä suhdetta, johon sisältyi hallinnon ja sääntelyn aiheuttaman rasituksen tarkastelu) sekä Euroopan lääkealan sääntelyverkoston toimintaa;
- koottiin yhteen analyysin tulokset ja tehtiin hyödyllisiä johtopäätöksiä myyntilupamenettelyistä saatujen kokemusten perusteella;
- verrattiin nykyistä tilannetta vuoden 2010 tutkimuksen tuloksiin ja seurattiin vuonna 2010 annettujen suositusten täytäntöönpanoa;
- yksilöitiin mahdollisia toimia, joita saatetaan joutua toteuttamaan optimaalista suorituskykyä haittaavien esteiden poistamiseksi, ja analysoitiin kunkin vaihtoehdon hyviä ja huonoja puolia.

Osana tutkimusta asianomaisia sidosryhmiä kuultiin heidän kokemuksistaan järjestelmästä sekä sen vahvuuksista ja heikkouksista. Kuulemistoimiin sisältyivät:

- haastattelut Euroopan lääkeviraston, komission, Euroopan parlamentin, lääketeollisuuden, kattojärjestöjen, potilasryhmien ja terveydenhuollon ammattijärjestöjen edustajien kanssa;
- osallistuminen ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevää komitean ja tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmän (ihmislääkevalmisteet) kokouksiin;
- kirjallinen kyselylomake, joka lähetettiin kansallisille toimivaltaisille viranomaisille ja tätä seuraavat puhelinhaastattelut;
- komiteoiden asiantuntijoille lähetetty verkkolomake;
- kahdeksan jäsenvaltion esimerkkitapaukset (Espanja, Italia, Portugali, Ruotsi, Saksa Tanska, Tšekki ja Viro).

Tutkimusraportin tarkistaminen

Komissio toimitti tiedoksi tämän toimeksisaajan tutkimuksen jäsenvaltioille, Euroopan lääkevirastolle ja tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmälle (ihmislääkevalmisteet). Sen saamat huomautukset selvensivät tutkimuksen epäjohdonmukaisuuksia ja epätarkkuuksia. Huomautuksissa ehdotettiin kuitenkin myös tiettyjen mahdollisten tehokkuusetujen tutkimista ja nykyisten menettelyjen ja ohjeiden

[10] *Lisätään linkki, kun on julkaistu*.

mukauttamista tieteen innovaatioihin ja kehitykseen. Huomautuksissa toivottiin esimerkiksi: i) kansallisten toimivaltaisten viranomaisten, Euroopan lääkeviraston ja terveysteknologian arviointielinten (HTA) välille parempaa koordinointia ii) toimia menettelyjen virtaviivaistamiseksi hallinnollisen rasituksen vähentämiseksi. Huomautuksissa viitattiin myös ongelmiin, joita ei tutkittu asianmukaisesti tutkimuksessa, mutta joita käsitellään tarkemmin lääkelainsäädäntöä arvioitaessa osana Euroopan lääkestrategiaa.

4. MYYNTILUPA- JA SEURANTAMENETTELYJEN ARVIOINTITUTKIMUKSEN TULOKSET

Vaikuttavuus

Kaiken kaikkiaan toimeksisaajan tutkimuksesta saadut tiedot osoittavat, että nykyinen ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden myyntilupaa ja seurantaa koskevien EU-menettelyjen järjestelmä täyttää lainsäädännössä asetetut tavoitteet. Nykyinen järjestelmä takaa erityisesti terveyden suojelun korkean tason Euroopan kansalaisille. Järjestelmä täyttää myös suurelta osin tavoitteensa eli lääkkeiden sisämarkkinoiden loppuunsaattamisen ja Euroopan lääkealan kilpailukykyä tukevan sääntelykehyksen luomisen.

Nopea tieteellinen kehitys on tuonut järjestelmälle uusia haasteita. Järjestelmästä on tullut monimutkaisempi seuraavien uusien rakenteiden vuoksi: i) uuden EU-lainsäädännön myötä syntyneet uudet komiteat, ii) tukea antavat asiantuntijatyöryhmät ja iii) muut EU:n lainsäädännön lisävaatimukset. Nopea tieteellinen kehitys tuo edelleen haasteita järjestelmään, ja näihin ongelmiin ehdotetaan ratkaisuja Euroopan lääkestrategian täytäntöönpanon yhteydessä.

Vuosina 2010–2017 verkoston toiminta on yleisesti ottaen lisääntynyt. Tämän seurauksena useimmat kansalliset toimivaltaiset viranomaiset ovat kohdentaneet enemmän resursseja EU-tason toimiin. Euroopan lääkeviraston lisääntyneet maksutulot (+81 prosenttia) ovat myös osoitus toiminnan lisääntymisestä, sillä hakijat maksavat maksuja myyntilupien hakemista ja ylläpitämistä varten. Keskitettyä menettelyä koskevien alkuperäisten myyntilupahakemusten määrä pysyi vakaana ja oli noin 90–100 hakemusta vuodessa. Nämä uudet käyttökohteet kuitenkin lisäävät alati kasvavaa luvan saaneiden tuotteiden valikoimaa, jota Euroopan lääkeviraston, verkoston ja komission on hallittava. Tämä on johtanut myyntiluvan myöntämisen jälkeisten menettelyjen ja niihin liittyvien valvonta- ja seurantatoimien määrän jatkuvaan kasvuun. Keskitetyn menettelyn mukaisesti myönnettyjen myyntilupien ehtojen muutosten määrä kasvoi vuoden 2010 noin 4 100 muutoksesta vuoden 2017 noin 6 200 muutokseen (+ 51 prosenttia)[11].

Tämän lisäksi harvinaislääkkeiden, lastenlääkkeiden ja pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden menettelyt ovat lisääntyneet huomattavasti vuosina 2010–2017.

[11] Perustuu julkisesti saatavilla oleviin Euroopan lääkeviraston vuosikertomuksiin: https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes

Pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkevalmisteiden luokituspyynnöt ovat lisääntyneet: vuonna 2013 niitä lähetettiin 20, ja vuonna 2017 niitä lähetettiin 46 (kasvu oli siis 130 prosenttia), kun taas joka vuosi lähetettävien harvinaislääkepyyntöjen määrä kasvoi 174:stä 260:een (kasvu oli 49 prosenttia) ja lastenlääkkeitä koskevien menettelyjen kokonaismäärä kasvoi 318:sta 421:een (kasvu oli 32 prosenttia).

Loppuunsaatettujen tunnustamismenettelyjen ja keskitettyjen menettelyjen määrä on vaihdellut: vuonna 2010 niitä oli 1 640, ja vuonna 2017 niitä oli 1 515. Vuonna 2014 menettelyjen määrä laski 1 046:een[12]. Tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmällä (ihmislääkevalmisteet) on tärkeä rooli tunnustamismenettelyissä ja hajautetuissa menettelyissä sekä ennen hyväksymistä että sen jälkeen. Se edistää yhdenmukaistamista esimerkiksi tutkimalla jäsenvaltioiden välisiä erimielisyyksiä ja antamalla yleisiä, menettelyjä koskevia ohjeita. Tutkimusjakson aikana tunnustamismenettelyjä ja hajautettuja menettelyjä koskevien lausuntopyyntöjen määrä on vähentynyt tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmän (ihmislääkevalmisteet) vuoropuhelun, yhteistyön ja yhdenmukaistamisen myötä. Lausuntopyyntöjen määrä tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmään (ihmislääkevalmisteet) väheni: vuonna 2010 pyyntöjä oli 17, kun vuonna 2017 niitä oli 11. Huippu eli 27 pyyntöä oli vuonna 2012. Tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmän (ihmislääkevalmisteet) ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevälle komitealle lähetettyjen lausuntopyyntöjen määrä väheni vuoden 2010 seitsemästä pyynnöstä vuoden 2017 yhteen ainoaan pyyntöön[12].

Lääkekehittäjien Euroopan lääkevirastolle esittämät tieteellistä neuvontaa ja tutkimussuunnitelma-apua koskevat pyynnöt lisääntyivät yli 40 prosenttia vuosina 2010–2017. Toimeksisaajan tutkimuksessa havaittiin, että Euroopan lääkevirasto on varmistanut, että prosessi toimii kokonaisuudessaan hyvin.

Pienille ja keskisuurille yrityksille myönnetty tuki on lisääntynyt: vuonna 2013 tieteellistä neuvontaa koskevia pyyntöjä tehtiin Euroopan lääkevirastolle 366, kun niitä vuonna 2017 tehtiin 436. Tänä aikana pienten ja keskisuurten yritysten osuus oli jatkuvasti noin 30 prosenttia kaikista Euroopan lääkevirastolle osoitetuista pyynnöistä.

Vaikka toimintataso on noussut, järjestelmä on kaiken kaikkiaan pysynyt tehokkaana. Järjestelmä perustuu jäsenvaltioiden resursseihin ja asiantuntemukseen, ja se hyötyy mekanismeista, joilla varmistetaan järjestelmän sisäinen koordinointi. Euroopan lääkevirasto toimii tehokkaana koordinoijana ja tieteellisenä tukena, ja se mukauttaa organisaatiorakennetta ja työmenetelmiä tehokkuuden parantamiseksi vastatakseen lisääntyneeseen toimintaan.

EU:n laajentumisen jälkeen jäsenvaltioiden välinen yhdenmukaistaminen ja koordinointi lisääntyivät. Yhä useammat jäsenvaltiot alkoivat ottaa menettelyissä aktiivisen roolin esimerkiksi: i) (rinnakkais)raportoijana, ii) osana keskitetyn menettelyn

[12] Tunnustamis- ja hajautetun menettelyn koordinointiryhmän (ihmislääkevalmisteet) tilastotiedot 2017.

monikansallista arviointiryhmää tai iii) tunnustamismenettelyn ja hajautetun menettelyn viitejäsenvaltiona.

Markkinavalvontaa ja turvatoimintaa on vahvistettu. Yksi tärkeimmistä syistä tähän oli tarkistetun lääketurvalainsäädännön täytäntöönpano vuonna 2012, minkä seurauksena: i) luotiin lääketurvallisuuden riskinarviointikomitea ja ii) koordinoitu signaalinhallinta. Lääkkeiden haittavaikutuksista ilmoittamisen mekanismeja on kehitetty jatkuvasti. Tässä yhteydessä potilaiden rooli on ollut merkittävä, ja potilaat ilmoittivatkin vuonna 2017 jopa noin 90 000 haittavaikutuksesta[13]. Lääkkeiden haittavaikutusten tarkastelumenettelyssä tunnistetaan mahdolliset riskit ja annetaan Euroopan lääkevirastolle, komissiolle ja kansallisille toimivaltaisille viranomaisille mahdollisuus toteuttaa tarvittavat sääntelytoimet. Mahdollisten riskien tunnistamista voitaisiin edelleen parantaa sisällyttämällä reaalimaailman data menettelyihin. Tämä edellyttäisi massadataa, farmakoepidemiologiaa ja tilastoja koskevan asiantuntemuksen kehittämistä.

Tehokkuus

Tutkimuksessa havaittiin, että nykyisen järjestelmän tehokkuutta voidaan parantaa. Keskeiset parannusehdotukset on esitetty jäljempänä, ja niitä tarkastellaan ja käsitellään Euroopan lääkestrategian toteutuksen yhteydessä.

Jo ennen koronaviruspandemiaa jotkut tutkimukseen osallistuneet asiantuntijat totesivat, että valmiudet puuttua hätätilan luomiin tarpeisiin ja puutteisiin eivät olleet riittäviä myyntiluvan saamisen jälkeisissä menettelyissä. Asiantuntijoiden mukaan järjestelmä ei kykene reagoimaan nopeasti ja joustavasti, koska: a) EU-lainsäädäntö ei sisällä hätätilan luomien tarpeiden (esimerkiksi lääkepulan) käsittelyä ja b) jäsenvaltioiden ja komiteoiden väliset koordinointimenetelmät ovat monimutkaisia, ja niitä olisi virtaviivaistettava ja vakioitava.

Euroopan terveysunionipakettiin sisältyvät, äskettäin hyväksytyt lainsäädäntöehdotukset[14] auttavat vastaamaan hätätilan luomiin tarpeisiin. Lisäksi Euroopan lääkestrategian[5] puitteissa tutkitaan, kuinka minimoida lääkepulan riski erityistoimilla, joita ovat esimerkiksi: i) tiukemmat toimitusvelvoitteet; ii) varhaisempi ilmoittaminen lääkepulasta ja markkinoilta poistamisista; iii) varastojen läpinäkyvyyden lisääminen ja iv) vahvemmat EU:n koordinaatiomekanismit lääkepulan seuraamiseksi, hallinnoimiseksi ja välttämiseksi. Lisäksi Euroopan lääkestrategian puitteissa harkitaan toimia, joilla parannetaan lääkkeiden saatavuutta kaikkialla EU:ssa. Tällä on myös (ennaltaehkäisevä) vaikutus lääkepulaan.

Toimeksisaajan tutkimuksen mukaan EU:n lääkelainsäädännön sääntelemän lupamenettelyn lisäksi Euroopan lääkeviraston, kansallisten toimivaltaisten

[13] Euroopan lääkeviraston vuosikertomus 2017.

[14] Euroopan terveysunionipaketti: COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726, COM (2020) 727.

viranomaisten ja terveysteknologian arviointielinten (HTA) välistä koordinointia voitaisiin parantaa. Tämä auttaisi varmistamaan, että lääkkeet tulevat potilaiden saataville nopeammin. Vuodesta 2010 lähtien Euroopan lääkeviraston ja kansallisten toimivaltaisten viranomaisten ja toisaalta terveysteknologian arviointielinten, hinnoitteluviranomaisten ja korvausviranomaisten yhteisten tieteellisten neuvojen tarjoamisen menettelyt ovat lisääntyneet. Yhteisten tieteellisten neuvontamenettelyjen avulla kliiniset tutkimukset ja reaalimaailman datatutkimukset voidaan suunnitella siten, että niiden tuottamaa näyttöä voidaan käyttää erilaisiin tarkoituksiin. Tätä näyttöä voitaisiin käyttää myyntilupien ja lisäksi kansallisen tason hinnoittelu- ja korvauspäätösten tukena. Näin lääkkeet tulisivat nopeammin potilaiden saataville. Näiden osapuolten välisen yhteistyön tiivistämisen myötä järjestelmästä tulee tehokkaampi, mikä palvelee potilaiden etua ja parantaa lääkkeiden saatavuutta.

Sääntelykehystä olisi yksinkertaistettava hallinnollisen rasitteen vähentämiseksi ja sääntelyviranomaisten ja teollisuuden arvokkaan ajan ja kapasiteetin vapauttamiseksi. Tämä voitaisiin saavuttaa virtaviivaistamalla tiettyjä menettelyjä ja prosesseja. Myyntilupamenettelyjen virtaviivaistamiseksi ja lupakehyksen optimoimiseksi voitaisiin harkita yhteistyötä maailman muiden kehittyneiden järjestelmien kanssa, jolloin ne voisivat tarjota uudenlaisia oivalluksia.

Myyntiluvan ehtojen muutokset ovat hyvin eri tyyppisiä. Muutokset voivat esimerkiksi: i) lisätä tuotteelle uuden terapeuttisen käyttöaiheen, ii) muokata vasta-aiheita koskevia tietoja tai iii) muuttaa myyntiluvan haltijan osoitetta. Kansalliset toimivaltaiset viranomaiset, Euroopan lääkevirasto ja alan sidosryhmät ovat yhtä mieltä siitä, että muutokset tuottavat suuren työmäärän jokaiselle kolmelle osapuolelle ja että yksinkertaistaminen on tarpeen. Tämän vuoksi tehokkaat liiketoimintaprosessit ovat erittäin tärkeitä.

Toimeksisaajan tutkimus nostaa myös esiin mahdollisuuden jatkaa Euroopan lääkeviraston komiteoiden välisen koordinoinnin parantamista. Tutkimuksessa ehdotettiin erityisesti tulosten yhdenmukaisuutta parantavaa koordinointia, jossa eri komiteoiden menettelyjä yhdenmukaistettaisiin Euroopan lääkeviraston lopullisten lääketieteellisten mielipiteiden ja suositusten antamiseksi. Harvinaisiin sairauksiin tarkoitettuja lääkkeitä ja lapsille tarkoitettuja lääkkeitä koskevien säännösten vireillä olevan tarkistamisen yhteydessä arvioidaan jo mahdollisia ratkaisuja, joiden avulla: i) koordinoidaan tarvittaessa paremmin kyseisten komiteoiden työtä ja ii) yksinkertaistetaan ja virtaviivaistetaan tiettyjä menettelyjä.

Pienten ja keskisuurten yritysten keskitettyä lupaa koskevat hakemukset lisääntyivät tutkimusjakson aikana vuosina 2010–2017. Ilman lupaa jääneiden tuotteiden osuus oli kuitenkin suurempi pienten ja keskisuurten yritysten hakemusten joukossa kuin suurempien yritysten hakemusten joukossa. Toimeksisaajan tutkimus osoittaa, että tämä voi johtua menettelyn monimutkaisuudesta, kustannuksista ja saavutettavuudesta. Pienissä ja keskisuurissa yrityksissä on myös vähemmän henkilöstöä ja rahaa, jolloin niiden on vaikeampi saavuttaa myyntiluvan edellyttämät laadulliset ja kliiniset

vaatimukset. Lisäksi pienet ja keskisuuret yritykset eivät välttämättä tuo kehittämiään lääkkeitä itse markkinoille. Tämä johtuu siitä, että suuremmat lääkeyhtiöt ostavat usein lupaavia lääkkeitä niiden kehitystyön loppuvaiheessa.

Pienille ja keskisuurille yrityksille tarjotussa tuessa on havaittu merkittävää edistystä tutkimusjaksolla 2010–2017 seuraavien tekijöiden ansiosta:

- Euroopan lääkeviraston erityinen tukitoiminto ja kannustimet pienille ja keskisuurille yrityksille (esimerkiksi sääntelyohjeet ja maksukannustimet);
- kansallisten toimivaltaisten viranomaisten tuki teollisuudelle – myös pienille ja keskisuurille yrityksille – varhaisen neuvonnan muodossa.

Osana Euroopan lääkestrategiaa tutkitaan muita tapoja tukea pieniä ja keskisuuria yrityksiä.

Digitalisaatio muuttaa terveydenhuoltoalaa. Digitaalista asiantuntemusta ja infrastruktuuria ei kuitenkaan ole vielä riittävästi saatavilla kaikissa jäsenvaltioissa ja verkostossa. Asiantuntemuksen ja infrastruktuurin kehittämistä tarvitaan erityisesti massadatan ja tekoälyn käytössä.

Kaikki sidosryhmät ovat yhtä mieltä siitä, että EU:n telemaattisilla järjestelmillä on myös tärkeä rooli järjestelmän tehostamisessa. Sidosryhmät ovat kuitenkin löytäneet myös parannuskohteita. Kansallisten toimivaltaisten viranomaisten näkemyksen mukaan EU:n telemaattinen hallintojärjestelmä on erittäin monimutkainen. Joidenkin sidosryhmien mukaan Euroopan lääkeviraston telematiikkajärjestelmät ja kansalliset järjestelmät eivät ole täysin yhteensopivia, mikä johtaa työn päällekkäisyyteen. Eri sidosryhmät ja kansalliset toimivaltaiset viranomaiset ovat todenneet, että verkosto on jäänyt jälkeen EU:n laajuisten tietojärjestelmien kehittämisessä. Tämä johtuu keskenään kilpailevista tavoitteista: toisaalta tarpeesta perustaa lainsäädännön edellyttämiä uusia tietojärjestelmiä ja toisaalta tarpeesta säilyttää nykyiset käytössä olevat järjestelmät saatavilla olevine resursseineen. Tämä voi johtaa tehokkuuden heikkenemiseen lähitulevaisuudessa, jos tilanteeseen ei puututa ajoissa ja ketterästi.

Kansallisten toimivaltaisten viranomaisten, Euroopan lääkeviraston ja asiantuntijoiden mukaan järjestelmällä on vaikeuksia käsitellä tuotteita, jotka ovat lääkkeiden ja lääkinnällisten laitteiden rajalla ja joita ei voida helposti luokitella kumpaankaan luokkaan (kyse on siis tuotteista, joiden ensisijaista toimintatapaa ei voida helposti määrittää). Alojen välistä koordinointia on parannettava, jotta innovointi ei estyisi EU:ssa. Vaikeuksia aiheuttavat myös lääkkeiden ja muiden tuoteluokkien (eli ihmisestä peräisin olevien aineiden, biosidien ja ravintolisien) väliset rajat.

Euroopan lääkeviraston komiteoiden ja työryhmien on lisättävä uusien asiantuntemusalueiden käytettävyyttä, jotta uusin tieteellinen ja teknologinen tietämys voidaan sisällyttää uusien lääkkeiden kehitys- ja arviointityöhön. Tämä pätee erityisesti pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden kaltaisiin tuotteisiin, joiden

yhteydessä kansallisten toimivaltaisten viranomaisten asiantuntemuksen kehittäminen on yhä tärkeämpää huomattavan tuotemäärän vuoksi.

5. ENSIMMÄISET KORONAVIRUKSESTA SAADUT KOKEMUKSET MYYNTILUPA- JA SEURANTAMENETTELYJEN OSALTA

Koronaviruspandemia on tuonut esiin sekä Euroopan lääkkeiden sääntelyjärjestelmän rajoituksia että vahvuuksia. Se on myös osoittanut mahdollisuuksia järjestelmän parantamiseksi.

EU on arvioinut ja antanut myyntilupia koronarokotteille ja -lääkkeille pikaisesti Euroopan lääkeviraston nopeasti toimittamien vastikään saataville tulleeseen tieteelliseen näyttöön perustuvien tieteellisten neuvojen ja säännöllisen arvioinnin sekä Euroopan komission nopeutettujen päätöksentekomenettelyjen avulla. Etätarkastusten ja kliinisten etätutkimusten ansiosta järjestelmä on pystynyt toimimaan myös pandemiarajoitusten puitteissa, ja samalla ne ovat antaneet mahdollisuuden testata vaihtoehtoisia työtapoja. Koronarokotteille ja muille lääkkeille on myönnetty ehdollisia myyntilupia hätätilanteen vuoksi. Jäsenvaltiot ovat mahdollistaneet kansallisella tasolla koronalääkkeiden saannin ennen (ehdollisen) myyntiluvan myöntämistä Euroopan lääkeviraston yhdenmukaistettujen neuvojen perusteella erityisluvallista käyttöä[15] koskevien mekanismien kautta. Näin on tehty remdesiviirin kohdalla ennen ehdollisen myyntiluvan myöntämistä sekä deksametasonin ja SARS-CoV-2-viruksen monoklonaalisista vasta-aineista koostuvien lääkkeiden kohdalla[16].

Jotta hätätilanteeseen pystytään reagoimaan tehokkaasti, sääntelyssä on joustettu esimerkiksi merkintävaatimusten, aikataulujen ja kuulemisessa käytettävien kielten osalta päätöksentekoprosessin aikana. Näitä joustomahdollisuuksia on selvitetty useissa komission[17], Euroopan lääkeviraston[18] ja lääkevirastojen johtajien[19] julkaisemissa ohjeissa.

Pandemia on myös vahvistanut lääkekehittäjien ja tiedeyhteisöjen kanssa käytävän varhaisen vuoropuhelun merkitystä: näin Euroopan lääkevirasto ja EU-verkoston asiantuntijat pysyvät ajan tasalla uusista teknologioista ja voivat valmistautua niiden tarkasteluun, mikä on helpottanut koronarokotteiden ja -hoitojen nopeaa hyväksymistä.

[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] Esimerkiksi vaccinesstrategy_labellingpackaging_en.pdf (europa.eu) ja guidance_regulatory_covid19_en.pdf (europa.eu).
[18] Euroopan lääkeviraston ohjeet ovat saatavilla osoitteessa: Guidance for medicine developers and other stakeholders on COVID-19 | European Medicines Agency (europa.eu).
[19] Heads of Medicines Agencies: COVID-19 (hma.eu).

COVID-19-pandemiaa käsittelevä EMA:n työryhmä[20] on koonnut verkoston parhaan asiantuntemuksen ja varmistanut nopean ja koordinoidun reagoinnin pandemiaan aina kehittäjille tarjotusta varhaisesta neuvonnasta lähtien välitavoitteiden saavuttamisen yhteydessä järjestettyjen tieteellisten keskustelujen ohjaamiseen asti. Nämä kokemukset on jo otettu huomioon terveysunionipakettiehdotuksessa Euroopan lääkeviraston valtuutuksen vahvistamiseksi[21], ja sen puitteissa on ehdotettu tällaisen EMA-työryhmän perustamista, joka johtaisi tulevaisuudessa tieteellistä toimintaa minkä tahansa kansanterveydellisen hätätilan yhteydessä. Sama ehdotus sisältää myös mekanismeja kriisinhallintaa sekä lääkepulan seurantaa ja helpottamista varten.

Pandemia on lisännyt Euroopan lääkealan sääntelyverkoston kokemaa painetta merkittävästi ja venyttänyt sen resursseja. Liiketoiminnan jatkuvuuden varmistamiseksi on toteutettu lievennystoimia[22]. Jäsenvaltiot ovat ilmoittaneet ennennäkemättömästä työtaakasta koronarokotteiden ja -lääkkeiden arvioinnissa ja lääketurvatoiminnassa. Raskasta työtaakkaa voidaan pitää yllä lyhyen aikaa ilman, että se vaikuttaa merkittävästi tavalliseen liiketoimintaan, ja samalla tulokset pystytään pitämään erinomaisina koronalääkkeiden ja -rokotteiden kehittäjille annettavan tehokkaan tuen ja neljän koronarokotteen ajoissa saaman myyntiluvan ansiosta. Tämä edellyttää kuitenkin lisäseurantaa, jotta voidaan varmistaa, että oikeat toimet toteutetaan verkoston kapasiteetin ylläpitämiseksi ja vahvistamiseksi.

Mahdollisuus sisällyttää mukautuksin koronapandemian aikana sovellettuja työkaluja ja joustomahdollisuuksia tavanomaiseen liiketoimintaan harkitaan jo, ja sitä ja sen vaikutusta resursseihin arvioidaan edelleen yleisen lääkelainsäädännön arvioinnin yhteydessä Euroopan lääkestrategian mukaisesti.

6. JOHTOPÄÄTÖKSET

Tämä kertomus ja sitä tukeva tutkimus osoittavat, että EU:lla on yleisesti ottaen toimiva lääkkeiden myyntilupajärjestelmä. Kertomuksessa kuitenkin nostetaan esiin myös asioita, joita voitaisiin parantaa. Lisäksi on huomioitava, että tutkimus tehtiin ennen viimeaikaisia Brexitin ja koronapandemian kaltaisia häiriöitä, joilla on ollut suora vaikutus myyntilupamenettelyihin ja liiketoiminnan jatkuvuuteen. Nämä kokemukset olisi otettava huomioon kaikissa jatkotoimissa. Ensimmäisiä koronaviruspandemiasta saatuja kokemuksista käsitellään edellä osassa 5.

[20] COVID-19-pandemiaa käsittelevä EMA:n työryhmä: 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.
[22] EMRN COVID19 BCP (europa.eu).

Euroopan lääkestrategia[5] kattaa lääkekehyksen haasteet ja monenlaisia lääkkeiden elinkaaren aikana ilmeneviä ongelmia, ja sen täytäntöönpano tarjoaa mahdollisuuden ratkaista edellä mainitut ongelmat kokonaisvaltaisesti.

Täytäntöönpanossa tarkastellaan useita kysymyksiä, kuten: i) kuinka lääkepulaan puututaan, ii) kuinka virtaviivaistetaan menettelyjä ja elinkaarihallintaa, myös muutoksia koskevia; iii) kuinka lisätään yhteistyötä alojen ja asianomaisten osapuolten välillä lääkkeiden elinkaaren aikana ja iv) kuinka varmistetaan, että verkostossa on sopivaa asiantuntemusta. Tämä hyödyttää myös pieniä ja keskisuuria yrityksiä vähentämällä teollisuuden hallinnollista rasitusta ja lisäämällä yhteistyötä lääkkeitä säätelevien viranomaisten, terveysteknologian arviointielinten sekä hinnoittelu- ja korvausviranomaisten välillä.

Jotkut toimet vaativat muutoksia lainsäädäntöön, kun taas toiset voidaan saavuttaa muilla kuin lainsäädännöllisillä keinoilla (esimerkiksi suuntaviivojen ja tehostetun koordinoinnin avulla). Näyttöä erityisten lainsäädäntötoimien tarpeesta kerätään arvioimalla Euroopan lääkestrategian mukaista lääkelainsäädäntöä.

Euroopan lääkestrategian[5] täytäntöönpanoa koskeva työ tehdään läheisessä yhteistyössä seuraavien tahojen kanssa: i) Euroopan lääkevirasto, ii) jäsenvaltiot ja kansalliset toimivaltaiset viranomaiset, iii) potilaiden ja terveydenhuollon ammattihenkilöiden järjestöjen edustajat, iv) tiedeyhteisö, v) teollisuus sekä vi) muut asianomaiset sidosryhmät.