C/2026/2541

22.5.2026

Euroopan talous- ja sosiaalikomitean lausunto

Eurooppalainen elämäntieteiden strategia sekä tutkimus- ja teknologiainfrastruktuureja koskeva strategia – painopisteenä harvinaisten sairauksien hoito

(EU:n neuvoston puheenjohtajavaltion Kyproksen pyytämä valmisteleva lausunto)

(C/2026/2541)

Esittelijä: **Milena ANGELOVA**

Neuvonantaja(t)	Siyka KATSAROVA (esittelijän neuvonantaja)
Komitean täysistunnon päätös	18.2.2026
Oikeusperusta	Työjärjestyksen 52 artiklan 2 kohta
Lausuntopyyntö	EU:n neuvoston puheenjohtajavaltion Kyproksen 13. lokakuuta 2025 esittämä lausuntopyyntö
Oikeusperusta	Euroopan unionin toiminnasta tehdyn sopimuksen 304 artikla
Vastaava jaosto	”liikenne, energia, perusrakenteet, tietoyhteiskunta”
Hyväksyminen jaostossa	3.2.2026
Hyväksyminen täysistunnossa	18.2.2026
Täysistunnon numero	603
Äänestystulos (puolesta / vastaan / pidättyi äänestämästä)	219/0/4

1. Päätelmät ja suositukset

Euroopan talous- ja sosiaalikomitea (ETSK):

1.1 suhtautuu myönteisesti eurooppalaiseen elämäntieteiden strategiaan ja Kyproksen harvinaisiin sairauksiin kiinnittämään erityiseen huomioon. Komitea korostaa, että kokonaisvaltainen lähestymistapa ja suotuisa toimintaympäristö voivat tehdä Euroopasta globaalin edelläkävijän elämäntieteiden (erityisesti harvinaisiin sairauksiin ja genomitutkimukseen keskittyvien elämäntieteiden) alalla, ja se tukee Euroopan parlamentin kehotusta hyväksyä pikaisesti harvinaisia sairauksia koskeva eurooppalainen toimintasuunnitelma antamalla myös vahvan sysäyksen terveellistä elämäntapaa koskevalle Tarton vetoomukselle ja kehittämällä sitä edelleen sekä omaksumalla yhteinen terveys -mallin.

1.2 kehottaa saavuttamaan pikaisesti yhteisymmärryksen harvinaisten sairauksien määrittelytavasta ja selventämään sitä, jotta voidaan tukea EU:n aloitteiden (muun muassa tutkimus- ja teknologiainfrastruktuureja koskeva eurooppalainen strategia ja Valitse Eurooppa -aloite) koordinoitua täytäntöönpanoa tällä alalla. Tutkimus- ja teknologiainfrastruktuuri (johon sisältyy harvinaisten sairauksien tutkimus- ja teknologiainfrastruktuuri) on keskeisen tärkeä tekijä elämäntieteiden ja pitkäikäisyystalouden kehittämisessä. Infrastruktuurin olisi katettava paitsi lääketiede ja genetiikka, biotekniikka, hoitoinfrastruktuuri ja lääkeala myös koko pitkäikäisyyskulttuuri (mukaan lukien ennaltaehkäisy, terveelliset elintarvikkeet, elämäntavat, kylpylähoidot ja virkistystoiminta, fyysinen terveys ja mielenterveys sekä monet muut seikat) ja koko elämäntieteiden kirjo, joka ulottuu sairauksien (myös harvinaisten sairauksien) diagnosointia ja hoitoa laajemmalle. Monialaisilla tukitoimilla olisi pyrittävä muun muassa edistämään osaavien ja nuorten yrittäjien asemaa, datan integrointia, teollis- ja tekijänoikeuksien suojaa sekä innovointirahoitusta vuosien 2028–2034 monivuotisessa rahoituskehyksessä.

1.3 korostaa EU:n keskeistä roolia tutkimukseen, infrastruktuuriin (erityisesti diagnostiikkainfrastruktuuriin) ja osaamiseen tehtävien investointien koordinoinnissa jäsenvaltioiden toimivaltaa ja erityispiirteitä kunnioittaen samalla kun pyritään saavuttamaan johtoasema elämäntieteiden alalla ja vähentämään heterogeenisyyttä ja eriarvoisuutta hyvien sairaanhoitopalvelujen saannissa. Komitea ehdottaakin, että omaksutaan kokonaisvaltainen toimintamalli, jossa kattavien tieteellisten ja datapohjaisten menetelmien avulla diagnosoidaan erityisesti harvinaisia sairauksia ja pyritään ymmärtämään niiden syitä (esim. geneettiset syyt, epäterveelliset tottumukset ja elämäntavat, saastuminen ja stressi), levitetään tietoa ennaltaehkäisystä ja varhaisesta diagnosoinnista (esim. ennen raskautta) ja tarjotaan seulontaa sekä tehokasta ja saavutettavissa olevaa hoitoa. Potilaiden ja heidän perheidensä saatavilla olisi oltava myös laadukkaita hoivapalveluja ja esteetön tuki-infrastruktuuri. Näille toimille olisi annettava uutta pontta tutkimuksen ja innovoinnin kohdennetun kehittämisen avulla. Siihen olisi yhdistettävä riittävä rahoitus, yksinkertaisempi, tulevaisuuden vaatimukset huomioon ottava ja todellisuuteen perustuva lainsäädäntökehys sekä kilpailukyvyn, huippuosaamisen ja digitalisaation edistäminen.

1.4 tähdentää, että eurooppalaiset kumppanuudet ovat olennaisen tärkeitä edistettäessä kaikkien sidosryhmien mielekästä ja jäsenneltyä osallistumista, ja kehottaa vahvistamaan sitä varten virallisia mekanismeja. Potilasjärjestöjen, työmarkkinaosapuolten ja kansalaisyhteiskunnan organisaatioiden jäsennelty, avoin ja järjestelmällinen mukanaolo sekä pakollinen edustus hallintoelimissä mahdollistaa sen, että niitä kuullaan määriteltäessä painopisteitä ja dataprotokollia, päätöksiä ja datan käyttöä koskevia avoimuusvaatimuksia, ja tarjoaa mekanismin, jolla varmistetaan, että niiden panokset otetaan aidosti huomioon.

1.5 suosittaa, että kuhunkin jäsenvaltioon perustetaan harvinaisiin sairauksiin erikoistuneita translationaalisia keskuksia, jotta lääketieteelliset yhteisöt, potilaat, sosiaalityöntekijät ja biopankit voidaan tuoda yhteen ja voidaan varmistaa keskusten koordinointi ja tukeminen EU:n tasolla. Keskukset voisivat tarjota jäsennellymmän keinon puuttua harvinaisiin sairauksiin, asettaa selkeämpiä tavoitteita ja painopisteitä sekä panna kokonaisvaltaisen ja yhdennetyn toimintamallin täytäntöön käytännössä. Eurooppalaisten osaamisverkostojen vahvistaminen ja niiden ulottuvuuden laajentaminen on keskeinen osa tätä prosessia.

1.6 korostaa, että eurooppalaiset elämäntieteet ovat muuttumassa datatieteiksi. Täsmälääketieteen, genomidiagnostiikan, molekyyliepidemiologian ja translaatiotutkimuksen kannalta onkin ratkaisevan tärkeää kehittää eurooppalaista terveystietoaluetta, 1+Mg-genomi- ja BBMRI-ERIC-biopankki-infrastruktuuria sekä ELIXIR-bioinformatiikkaekosysteemiä.

2. **Yleishuomiot**

2.1 EU:n terveydenhuoltojärjestelmien kliinisissä käytännöissä, hoitopoluissa, datan kypsyysasteessa, väestön tarpeissa ja hallintorakenteissa on huomattavia eroja, ja EU:n olisikin otettava käyttöön malli, jossa suositaan yhtenäisyyden sijaan koordinointia ja jossa terveysinnovaatioiden testauksessa, validoinnissa ja laajentamisessa hyödynnetään alueellisia erityispiirteitä.

2.1.1 EU:n on tuettava rajapintojen yhteensovittamista, tavoitteiden koordinointia sekä näytön ja hyvien käytäntöjen jäsenneltyä vaihtoa, jotta voidaan varmistaa yhteentoimivat tietovirrat sekä kliinisen ja sääntelyyn perustuvan näytön vertailukelpoisuus. Tämän saavuttaminen edellyttää, että käytettävissä ovat muun muassa eurooppalaisen terveysdata-avaruuden vaatimusten mukaiset dataympäristöt, digitaalisen terveyden, tekoälyvälineiden, pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden (ATMP-lääkkeet) ja diagnostiikan yhteentoimivat näyttövaatimukset sekä yhteisten kliinisten arviointien / yhteisten tieteellisten arviointien jaetut menetelmäkehykset. ATMP-lääkkeet, mukaan lukien geeni-, solu- ja kudoshoidot, ovat harvinaisten, erityisesti monogeenisten, sairauksien merkittävimpiä hoitokeinoja, ja niiden kehittämistä olisi pidettävä EU:n strategisena painopisteenä. ATMP-lääkkeiden testialustat ja kliiniset testiympäristöt voisivat muodostaa erikoistuneiden solmukohtien verkoston, joka tukee erilaisissa terveydenhuoltoympäristöissä tehtäviä kokeiluja ja mahdollistaa validoitujen innovaatioiden käyttöönoton laajemmassa mittakaavassa eri alueilla.

2.1.2 Euroopan lääkeviraston, terveysteknologian arviointilaitosten ja nk. ilmoitettujen laitosten olisi nopeutettava näyttövaatimusten, varhaisen vuoropuhelun ja kuulemisten koordinointia ja parannettava standardoitujen menettelyjen ja sääntelyn testiympäristöjen joustavuutta. Näin voitaisiin varmistaa, että innovaatioita voidaan arvioida paikallisissa olosuhteissa, että näyttö liikkuu, vaikka käytännöt eroavat toisistaan, ja että aluetason yhteisillä tieteellisillä arvioinneilla / yhteisillä kliinisillä arvioinneilla edistetään ymmärrystä EU:n tasolla.

2.2 Genomiikka ja molekyläärinen biologia muodostavat nykyisten eurooppalaisten elämäntieteiden perustan ja ovat yhä tiiviimpi osa lääketieteellisiä käytäntöjä, kansanterveyteen liittyvää seurantaa sekä tutkimus- ja innovointikumppanuuksia. Koko genomin ja eksomin sekvensointi ja transkriptomimenetelmät (RNA:n sekvensointi) mahdollistavat sekä täsmälääketieteen että geneettisten sairauksien tunnistamisen. Genomiikka (tutkimukset ja kliininen diagnostiikka) olisikin sisällytettävä useita eri aloja yhdistäväksi osaksi EU:n terveys- ja tutkimusyhteistyötä. Kansallisten koordinointipisteiden olisi seurattava sekvensointi-infrastruktuuria, tutkimusvalmiuksia, työvoiman osaamista ja datan integrointivalmiutta, jotta voidaan varmistaa yhteensopivuus kansallisten terveysstrategioiden, digitalisaatiotoimien ja 1+MG-aloitteen kanssa.

2.3 ETSK kannattaa elämäntieteiden alalla kokonaisvaltaista toimintamallia ja yhteinen terveys -mallia, jossa tunnustetaan ihmisten, eläinten ja ympäristön terveyden keskinäiset yhteydet. Varhainen diagnostiikka, seulonta, tutkimuksen ja innovoinnin edistäminen, terveelliset elämäntavat, ennaltaehkäisy ja hoidon saatavuuden parantaminen ovat pitkäikäisyyden, oikeudenmukaisuuden ja potilaiden hoitopolkujen parantamisen keskeisiä edellytyksiä. Monivuotisessa rahoituskehyksessä 2028–2034 olisikin otettava huomioon terveysalan painopisteet, myös harvinaiset sairaudet, jotta niitä ei unohdeta sen jälkeen, kun ne on sisällytetty Euroopan kilpailukykyrahastoon ja Horisontti Eurooppa -puiteohjelmaan.

2.4 Eurooppalaiset osaamisverkostot ovat keskeinen osa EU:n järjestelmää, jonka puitteissa hallitaan harvinaisia sairauksia, sillä ne mahdollistavat asiantuntemuksen vahvistamisen, rajatylittävät kliiniset konsultoinnit ja tietojen jakamisen. Osaamisverkostojen vahvistamista ja sisällyttämistä eurooppalaiseen terveystietoalueeseen sekä genomialoitteisiin olisi pidettävä strategisena painopisteenä, jotta pääsyä niihin voidaan parantaa ja helpottaa ja samalla edistää kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien välistä yhteistyötä. Osaamisverkostojen olisi toimittava genomiikkaa hyödyntävän rajatylittävän hoidon keskuksina ja edistettävä seuraavien tekijöiden integrointia: kliinisen tason sekvensointiin liittyvät työnkulut, turvalliset väylät muunnosten tulkintaa varten, genomiikkaan erikoistuneet monialaiset lautakunnat sekä mekanismit tunnistamattomien tapaustietojen, myös genomi- ja fenotyyppitietojen, jakamiseksi jäsennellysti eurooppalaisten osaamisverkostojen keskuksissa noudattaen tietosuojasääntöjä ja eurooppalaisen terveysdata-avaruuden vaatimuksia.

2.5 ETSK toistaa ehdotuksensa laajentaa terveyshätätilanteiden valmiusviranomaisen (HERA) toimeksianto kattamaan harvinaiset sairaudet tai käyttää HERAa mallina, jonka pohjalta perustetaan uusi tarttumattomista taudeista vastaava EU:n viranomainen. Tavoitteena on edistää koordinointia, vahvistaa harvinaisten sairauksien ehkäisemiseen liittyvää yhteisvastuuta ja auttaa laatimaan ja nopeuttamaan harvinaisia sairauksia koskevan eurooppalaisen toimintasuunnitelman täytäntöönpanoa. Komitea kehottaa myös vahvistamaan Orphanetia niin, että se voi julkaista työnsä kaikilla EU:n virallisilla kielillä. Näin voidaan varmistaa, että potilaat ja ammattilaiset saavat tarvitsemiaan tietoja.

3. **Erityishuomiot**

3.1 *Harvinaiset sairaudet*

3.1.1 Harvinaisia sairauksia on noin 36–39 miljoonalla ihmisellä EU:ssa, ja erilaisia harvinaisia sairauksia on tunnistettu arviolta 6 000–8 000. Noin 70–80 prosentilla harvinaisista sairauksista on geneettinen aiheuttaja. Pienten ja hajanaisten potilasryhmien ja diagnostiikan monimutkaisuuden vuoksi tarvitaan EU-tason koordinoituja toimia, jotta diagnosointia, tutkimusta, hoitopolkuja ja hoidon saatavuutta voidaan parantaa.

3.1.2 Harvinaisen sairauden diagnoosin saaminen on usein hankalaa ja vie Euroopassa keskimäärin 5–7 vuotta. Oikeaa diagnoosia edeltävät usein väärät diagnoosit. Genomidiagnostiikka lyhentää tätä viivettä huomattavasti ja parantaa pääsyä asianmukaisen hoidon ja tuen piiriin.

3.1.3 Harvinaisten sairauksien hoidon saatavuudessa on eroja EU:ssa. Erot korvauksissa, terveydenhuollon menetelmien arviointimenettelyissä ja terveydenhuoltojärjestelmän organisoinnissa aiheuttavat alueellista eriarvoisuutta. Yhdenmukaistetut terveydenhuollon menetelmien arviointikehykset, yhteiset kliiniset arvioinnit ja vahvistetut rajatylittävät mekanismit ovatkin hoidon tasapuolisen saatavuuden kannalta olennaisen tärkeitä.

3.1.4 ETSK kehottaa sitoutumaan harvinaisia sairauksia koskeviin yhteentoimiviin tietomuotoihin, yhdenmukaistettuihin suostumusmalleihin ja metatietostandardeihin eurooppalaisen terveysdata-avaruuden vaatimusten mukaisesti. Yhteiset standardit genomitiedon tuottamista, biopankkinäytteiden käsittelyä ja metatietomalleja varten sekä mekanismit tietojen yhdistämiseen biopankkien ja kliinisten rekistereiden välillä ovat olennaisen tärkeitä, jotta voidaan yhdenmukaistaa biopankkimenettelyjä ja integroida genomitiedot harvinaisten sairauksien kannalta merkitykselliseen biopankki- ja rekisteri-infrastruktuuriin. Rajatylittävän tiedon saatavuutta käsittelevien komiteoiden työn olisi perustuttava yhtenäisiin arviointiperusteisiin, jotta varmistetaan akateemisten, kliinisten ja teollisuuden tutkijoiden ennakoitavissa oleva ja oikeudenmukainen pääsy tietoihin.

3.1.5 ETSK korostaa, että ainoastaan kokonaisvaltainen ja yhdennetty toimintamalli ja yhteistyökulttuuri voivat johtaa menestykseen elämäntieteiden kehittämisen alalla. Myös luonto- ja ilmastopohjaiset hoidot on integroitava paremmin ennaltaehkäisyyn ja kuntoutukseen. EU:n terveyskylpyläverkosto, ilmastoparantolat ja luonnolliset hoitoympäristöt tarjoavat näyttöön perustuvaa kylpylä- ja ilmastohoitoa, joka täydentää biolääketieteellisiä innovaatioita, tukee mielenterveyttä ja kuntoutusta ja auttaa vähentämään pitkän aikavälin terveydenhoitokustannuksia. Euroopan komission on tunnustettava nämä resurssit osaksi eurooppalaista elämäntieteiden strategiaa, edistettävä niihin liittyvää tutkimusta ja digitaalisia välineitä sekä yhdistettävä ne laajempiin terveenä ikääntymistä, ennaltaehkäisyä ja vihreää siirtymää koskeviin tavoitteisiin.

3.1.6 Innovointipotentiaalia rajoittavat yhä enemmän rakenteelliset sääntelyesteet, jotka viivästyttävät markkinoille pääsyä, lisäävät säännösten noudattamisesta aiheutuvia kustannuksia ja vähentävät EU:n houkuttelevuutta tutkimus- ja investointikohteena. Innovointia haittaavat keskeiset esteet on poistettava muun muassa seuraavin keinoin:

— sujuvoitetaan ja yksinkertaistetaan liian pitkiä, monimutkaisia ja päällekkäisiä lupamenettelyjä (jotka vievät usein 2–3 vuotta) ja puututaan oikeasuhtaisten ja riskiperusteisten väylien puutteeseen

— poistetaan hakemuksen toimittamista edeltävien vaiheiden sekä riskinarvioinnin ja -hallinnan tehottomuuksia

— höllennetään avoimuusasetuksen suhteettomia vaatimuksia

— tarjotaan luotettavia vaikutustenarviointeja ja oikeasuhtaisia sääntöjä ja otetaan asianmukaisesti huomioon uuden lainsäädännön ja uusien hallinnollisten menettelyjen vaikutukset kilpailukykyyn ja pk-yrityksiin

— kannustetaan jäsenvaltioita soveltamaan vastavuoroista tunnustamista, jotta voidaan varmistaa kaikkien jäsenvaltioiden yhteinen vähimmäistason yhteensopivuus.

4. **Tavoitteena Euroopan maailmanlaajuinen johtoasema elämäntieteissä**

4.1 Harvinaisten sairauksien diagnosointiin ja hoitoon liittyvien haasteiden ratkaisemiseksi ETSK suosittaa seuraavia toimia:

— luodaan potilaita varten yksilöllisiä hoitopolkuja

— tehdään diagnoosi varhaisessa vaiheessa ja tehokkaasti (hyödyntäen esim. geneettistä seulontaa ja hedelmöitystä edeltävää testausta) yhteistyössä biopankkien ja harvinaisiin sairauksiin keskittyvien organisaatioiden kanssa

— muunnetaan tieteelliset edistysaskeleet hoitoratkaisuiksi nopeuttamalla hyväksymispolkuja myös harvinaislääkkeiden osalta

— koulutetaan asiantuntijoita (kliinisen genetiikan asiantuntijoita ja neuvonantajia)

— lisätään yleistä ymmärrystä harvinaisista sairauksista, varhaisesta havaitsemisesta ja ennaltaehkäisystä ja viedään terveellisempien elintapojen tavoittelun kulttuuria uudelle tasolle

— varmistetaan genomitutkimuksen ja -infrastruktuurin – mukaan lukien sekvensointikeskukset, bioinformatiikan alustat, turvalliset pilviympäristöt ja viitetietokannat – kestävä ja pitkäaikainen rahoitus ja koordinoitu kehittäminen

— yhdenmukaistetaan lasten ja aikuisten hoitopolut elinkaariajattelun varmistamiseksi.

4.2 ETSK korostaa tarvetta uudistaa lainsäädäntökehystä ja helpottaa bioteknologiatuotteiden markkinoille pääsyä ja maailmanlaajuista saatavuutta ottaen huomioon terveyteen liittyvän bioteknologian laajan kirjon, mukaan lukien tuotteet, teknologiat ja teolliset sovellukset. Sääntelyvaatimukset olisi suunniteltava siten, että niissä otetaan huomioon viimeaikainen tieteellinen kehitys ja mahdollistetaan innovointi ja helpotetaan sitä.

4.2.1 Kehittynyttä teknologiaa ja huipputeknologiaa, kuten rokotteita, CAR-T-soluhoitoja ja täsmälääketiedettä, on tuettava jatkuvasti, sillä ne ovat maailmanlaajuisen kilpailukyvyn keskeisiä edistäjiä. Yhtä tärkeää on säilyttää vahva bioteknologinen perusta (erityisesti immunologian ja syöpäsairauksien osalta) ja tunnustaa biosimilaarien ([1]) keskeinen rooli vakiintuneina hoitovaihtoehtoina kroonisissa ja hengenvaarallisissa sairauksissa, sillä ne edistävät merkittävästi potilaiden pääsyä hoitoon ja terveydenhuoltojärjestelmän kestävyyttä. Euroopan lääkevirasto on vahvistanut biosimilaarien kliinisen vastaavuuden viitetuotteiden kanssa. Potilaiden tarpeisiin ja bioteknologian innovoinnin realiteetteihin räätälöidyt selkeämmät, ennakoitavat ja tehokkaat säännöt voivat vauhdittaa terveyteen liittyvän bioteknologian (mukaan lukien ATMP-lääkkeet, molekyylidiagnostiikka ja uudet hoitomuodot) kehittämistä ja soveltamista pyrittäessä parantamaan ennaltaehkäisyä, diagnostiikkaa ja hoitoa. Biosimilaarien lääkkeiden laaja-alainen käyttö korkeiden kustannusten hoitoaloilla voi niin ikään vapauttaa julkisen talouden liikkumavaraa ja lisätä kykyä korvata innovatiivisia hoitoja, myös ATMP-lääkkeitä.

4.2.2 Innovointi edellyttää etenkin nopeutettujen lupamenettelyjen byrokratian vähentämistä ja yksinkertaistamista, sillä selkeämmistä, ennakoitavammista ja virtaviivaisemmista poluista olisi niissä hyötyä. Euroopan lääkeviraston ja EU:n sääntelyviranomaisten verkoston työtä olisikin edistettävä tehostamalla ja nopeuttamalla sääntelyn tunnustamista myös silloin, kun mukana on EU:n ulkopuolisia viranomaisia. Innovoinnin vauhdittaminen tutkimuksen ja kehittämisen alalla (erityisesti lääkkeiden osalta), vaihtoehtoisten eläinkokeettomien testausmenetelmien (esim. solupohjaiset määritykset) käyttöönoton varmistaminen ja kannustaminen in vivo -testauksen korvaamiseen eettisillä ja skaalautuvilla vaihtoehdoilla edellyttävät eläinkokeettomien mallien validointi- ja hyväksymisprosessin yksinkertaistamista. Jäsenvaltioita olisi myös kannustettava päivittämään hinnoittelu- ja korvauskehyksiä siten, että niissä otetaan huomioon bioteknologian kehittämisen ja tuotannon erityisluonne (ennakkoinvestoinnit, pitkät kehittämissyklit ja merkittävä riski) ja löydetään tasapaino kustannustehokkuuden, markkinoille pääsyn ja toimitusvarmuuden välillä.

4.2.3 On jatkettava ponnisteluja, jotta jäsenvaltiot saadaan puuttumaan systeemiseen tehottomuuteen kliinistä lääketutkimusta koskevan luvan myöntämisessä ja tutkimuksen hallinnoinnissa ([2]). Siten voidaan varmistaa kliinisiä lääketutkimuksia koskevien hakemusten nopeampi hyväksyminen ja vähentää hallinnollista taakkaa, kun tehdään muutoksia käynnissä oleviin lääketutkimuksiin (olennaiset muutokset, mukaan lukien rinnakkaiset hakemukset). Keskinäistä luottamusta jäsenvaltioiden raportoinnin arviointiin ja eettisten komiteoiden välistä koordinointia EU:ssa olisi edistettävä, jotta monikansallisten kliinisten lääketutkimusten hyväksymisprosessia voidaan yhdenmukaistaa tehokkaammin. Sääntelyn tehokkuuden on kuljettava käsi kädessä tieteellisen luotettavuuden ja kilpailukyvyn kanssa, jotta voidaan taata jatkuva potilasturvallisuus ja mahdollistaa korkealaatuisten lääkkeiden (myös biosimilaarien) oikeudenmukainen markkinoille pääsy.

4.2.4 Sääntelyvaatimusten yhdenmukaistaminen on avainasemassa pyrittäessä vähentämään lääkkeiden kehittäjien ja valmistajien epävarmuutta. Bioteknologia-alan kehittyessä jatkuvasti Euroopan farmakopeaan olisi sisällytettävä laajempi valikoima biologisia ja bioteknologisia aineita, jotta se heijastaisi nykyaikaisten bioteknologiaan perustuvien lääkkeiden moninaisuutta EU:ssa. Hyvään tuotantotapaan liittyvät sääntelypuutteet esimerkiksi postbioottien, probioottien tai puhdistuksen validoinnin alalla olisi korjattava kohdennetuilla EU:n tason ohjeilla sekä tieteellisesti luotettavilla kriteereillä, joista voi olla apua aineiden vertailukelpoisuuden arvioinnissa.

([1]) Biosimilaareilla on merkitystä terveydenhoidon saatavuuden ja terveydenhuoltojärjestelmien vakauden kannalta, mutta niissä ei ole kyse uraauurtavista teknisistä innovaatioista.

([2]) Lähes 60 000 potilasta EU:ssa on menettänyt viiden viime vuoden aikana mahdollisuuden osallistua kliinisiin tutkimuksiin hallinnollisten pullonkaulojen ja hajanaisten hyväksymisjärjestelmien vuoksi.

4.2.5 EU:n on hyödynnettävä digitaali- ja tekoälyteknologioiden yhteentoimivuutta (tekoälytehtaiden avulla) tutkimuksen ja kliinisen kehittämisen edistämiseksi ja pyrkiessään varmistamaan datan turvallisen jakamisen ja saatavuuden. Eurooppalaisen terveysdata-avaruuden ja tekoälysäädöksen tehokas täytäntöönpano voisi tarjota yksityiselle sektorille pääsyn kriittisiin datajoukkoihin ja vapauttaa muutosvoimaista innovointia, edellyttäen, että teollis- ja tekijänoikeudet ja liikesalaisuudet suojataan.

4.2.6 Euroopan lääkeviraston yhdistetyn DARWIN-EU-dataverkon laajentaminen mahdollistaisi reaalimaailman tietojen laajemman hyödyntämisen päätöksenteossa, kunhan lääkevirastolla ja kansallisilla viranomaisilla on työnkulun optimoinnin edellyttämää huippuasiantuntemusta ja pilvipohjaista infrastruktuuria.

4.2.7 Toiminnan laajentamista voidaan tukea parantamalla teollis- ja tekijänoikeuksien suojaa ja sääntelyyn perustuvaa tietosuojaa sekä varmistamalla tehokkaat lupa- ja tarkastusmenettelyt (esim. bioteknologia-alustojen tuontilupien, ihmisperäisten aineiden sekä ympäristölupien osalta). Euroopan yhteistä etua koskevien tärkeiden hankkeiden, Euroopan investointipankin rahoituksen, julkisten hankintojen mekanismien ja verokannustimien kaltaisten välineiden sekä riskipääoman saatavuus voivat auttaa kuromaan umpeen laboratoriotutkimuksen ja hyvien tuotantotapojen mukaisten tuotantoinvestointien välistä kuilua.

4.3 Biosimilaarit on tunnustettava paitsi kustannuksia säästäviksi välineiksi myös innovatiivisiksi tuotteiksi, jotka on kehitetty erittäin monimutkaisissa bioteknologisissa prosesseissa. ETSK korostaa tarvetta varmistaa seuraavat seikat:

— pitkän aikavälin toimitusvarmuus ja teollisuuden häiriönsietokyky EU:ssa siirtämällä biosimilaareja koskevat julkiset hankintakäytännöt pois puhtaasti hintalähtöisestä logiikasta (sillä keskittyminen yksinomaan alhaisimpaan hintaan saattaa heikentää biosimilaarien valmistajien taloudellista elinkelpoisuutta)

— avoimuus, kehittämiskustannusten alentaminen ja toistettavuuden parantaminen kehittämällä edelleen olemassa olevia biosimilaareja koskevia ohjeita hoitoluokittain, mukaan lukien farmakodynaamisen vertailukelpoisuuden mallit ja fysiokemiallisten karakterisointivälineiden soveltaminen, ja tarkastelemalla rajoituksia uudelleen aiemmissa tiedoissa olevien puutteiden perusteella, jotta voidaan mahdollistaa tehokkaiden, näyttöön perustuvien menetelmien laajempi käyttö

— lääkkeiden valmistuksen osaamiskeskuksen perustaminen, jotta voidaan auttaa houkuttelemaan osaajia, edistää osaamista ja tukea merkittävällä tavalla teollisen tuotannon innovointia.

4.4 Avoimuusasetuksessa ([3]) otettiin käyttöön vaatimuksia, jotka haittaavat innovointia erityisesti pienissä ja keskisuurissa yrityksissä (pk-yritykset). Asetus on kaventanut merkittävästi luottamuksellisina pidettävien tietojen laajuutta, mikä rajoittaa hakijoiden mahdollisuuksia suojata omistusoikeuden alaisia tietoja. Luottamuksellisuuden pyytäminen on liian byrokraattista ja aiheuttaa huomattavia viivästyksiä validoinnin aikana jo ennen kuin tieteellistä arviointia on aloitettu. Myös liian kireä tutkimusilmoitusvelvollisuus tuo lisähaastetta, johon liittyy seuraamusten tai viivästysten riski, joka haittaa toimintaa ja vaatimusten noudattamista. Yhtenä huolenaiheena on myös hakemusten varhainen julkistaminen, jolloin asiakirja-aineistot tulevat julkisesti saataville arvioinnin alussa. Tällöin salataan vain luottamukselliset osat, jotka rajoittuvat kuitenkin usein pelkkiin henkilötietoihin ja muihin kapeasti määriteltyihin seikkoihin. Näin kilpailijat voivat tunnistaa kehitteillä olevat innovaatiot ja kerätä tietoja, joiden avulla ne voivat nopeasti saavuttaa alkuperäisen hakijan, ja EU:n ulkopuoliset toimijat voivat tuoda markkinoille kilpailevia tuotteita jo ennen kuin EU:n hakija on saanut luvan.

4.5 Myös terveysväitteitä koskeva asetus ([4]) muodostaa merkittävän esteen innovoinnille, eikä uusia hakemuksia ole jätetty juuri lainkaan erittäin alhaisen onnistumisasteen vuoksi. Asetuksessa vahvistetut suhteettomat ja kestämättömät tieteellisen näytön kynnysarvot estävät tieteellisen kehityksen, vähentävät investointeja elintarvikkeiden terveyshyötyjä koskevaan tutkimukseen, koska onnistumismahdollisuudet ovat heikot, ja rajoittavat kuluttajien mahdollisuuksia saada luotettavaa tietoa. Kehyksen tarkistaminen onkin perusteltua EU:n ja muun maailman välisen innovointikuilun umpeen kuromiseksi.

([3]) Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EU) 2019/1381, annettu 20 päivänä kesäkuuta 2019, elintarvikeketjuun sovellettavan EU:n riskinarvioinnin avoimuudesta ja kestävyydestä sekä asetusten (EY) N:o 178/2002, (EY) N:o 1829/2003, (EY) N:o 1831/2003, (EY) N:o 2065/2003, (EY) N:o 1935/2004, (EY) N:o 1331/2008, (EY) N:o 1107/2009 ja (EU) 2015/2283 sekä direktiivin 2001/18/EY muuttamisesta (EUVL L 231, 6.9.2019, s. 1, ELI: http://data.europa.eu/eli/reg/2019/1381/oj).

([4]) Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 1924/2006, annettu 20 päivänä joulukuuta 2006, antamiseksi Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen antamiseksi elintarvikkeita koskevista ravitsemus- ja terveysväitteistä (EUVL L 404, 30.12.2006, s. 9, ELI: http://data.europa.eu/eli/reg/2006/1924/oj).

Euroopan terveyskylpyläverkosto, ilmastoparantolat ja luonnolliset hoitoympäristöt tarjoavat hyviksi havaittuja kylpylä- ja ilmastohoitojen malleja, jotka nopeuttavat kuntoutusta, vahvistavat selviytymiskykyä ja auttavat vähentämään pitkän aikavälin terveydenhuoltokustannuksia. ETSK kehottaakin komissiota tunnustamaan nämä resurssit osaksi eurooppalaista elämäntieteiden strategiaa, edistämään tutkimusta ja digitaalisia välineitä sekä parantamaan niiden saatavuutta, yhdistämään resurssit laajempiin terveenä ikääntymistä ja ennaltaehkäisyä koskeviin tavoitteisiin ja integroimaan aktiivisesti luonto- ja ilmastopohjaiset hoidot jäsenneltyihin ennaltaehkäisyohjelmiin ja tehokkaisiin toipumispolkuihin.

Bryssel 18. helmikuuta 2026.

Euroopan talous- ja sosiaalikomitean
puheenjohtaja
Séamus BOLAND