



## EU-KOMISSIION ASETUS LASTENLÄÄKKEISTÄ

28.9.2005

Valtakunnallinen eettisten toimikuntien seminaari  
Maria Virkki, LÄÄKELAITOS



## LASTENLÄÄKEASETUS

- ◇ 14.12.2000 EU:n Ministerineuvoston päätös lastenlääkeasetuksen valmistelun käynnistämiseksi
- ◇ 2/2002 Komissio julkaisi ensimmäisen luonnoksen lastenlääkeasetukseksi
- ◇ Vuosina 2002-2004 valmistelu eteni komissiossa konsultaatiokierroksineen
- ◇ 29.9.2004 asetusehdotus siirtyi Ministerineuvoston (Neuvoston Lääketyöryhmän) käsittelyyn
- ◇ 7.9.2005 EU-Parlamentin 1. luenta



## LASTENLÄÄKEASETUS...

- ◇ Parhailtaan neuvottelut komission ja neuvoston lääketöryhmän välillä tiiviisti käynnissä
- ◇ Asetusehdotus ministerineuvostoon (aika ?)
- ◇ Uusi EU-Parlamentin käsittely (2. luenta)
- ◇ Voimaantulo vuoden 2006 aikana ?



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TAUSTAA...

- ◇ Myyntiluvan myöntämisen edellytyksenä lääkevalmisteen tehon, turvallisuuden ja laadun osoitus
- ◇ 50- ja 60- luvuilla lääkkeisiin liittyvät haittavaikutukset todettiin lapsilla
  - ◇ sulfafuratsoli ~ kernikterus vastasyntyneillä
  - ◇ kloramfenikoli ~ gray-baby-syndrooma
  - ◇ tetrasykliinit ~ hampaiden värjäytyminen
  - ◇ asetosalisyylihappo ~ Reyen syndrooma
- ⇒ USA:ssa ja Euroopassa luotiin pelisäännöt lääkevalvonnalle



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TAUSTAA...

50-90% kaikista lapsilla käytetyistä lääkkeistä sellaisia, joiden tehoa ja turvallisuutta ei ole osoitettu lapsilla



- ◇ Lasten tehohoidossa osuus 80%
- ◇ Keskosten tehohoidossa 90%
- ◇ Mitä harvinaisempi tauti, sitä todennäköisemmin käytetään aikuisten lääkkeitä



## Tutkimusten puutteen seurauksena....

- ◇ lapset saavat tehotonta hoitoa
  - liian pieniä annoksia
- ◇ joskus harvoin jopa haitallista hoitoa
  - talidomidi jne.
- ◇ lapset eivät pääse riittävän nopeasti lääkeshoidon piiriin, josta heille olisi hyötyä
  - syöpäsairauksien hoito



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TAUSTAA...

◊ Euroopan Lääkevirastossa (EMA) 1995-1998 myyntiluvan saaneista 45 lääkevalmisteesta 10 sai myyntiluvan lapsille; näistä 19/35 olisi voitu hyödyntää lasten lääkeshoidossa, mutta asianmukaisten kliinisten tutkimusten tuloksia ei ollut käytettävissä ..... (Brit J Clin Pharm 1999;49:93-)

◊ Ranskassa v. 1994-1997 tehdyissä kliinisissä tutkimuksissa ainoastaan 7 %:ssa oli mukana lapsia

◊ Suomessa tehtävistä kliinisistä lääketutkimuksista 6% tehdään lapsilla - valtaosa rokotetutkimusta



## EHDOTUS LASTENLÄÄKEASETUKSEKSI

◊ perustuu perustamissopimuksen 95 artiklaan

◊ valmistelussa huomioitu voimassa oleva lainsäädäntö Euroopan unionissa

◊ ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden dir. 2001/83/EY, asetus 726/2004, kliinisen tutkimuksen direktiivi, harvinaislääkeasetus

◊ valmistelussa huomioitu myös USA:ssa kerätty kokemus vastaavasta lainsäädännöstä ja siellä käytössä olevat velvoitteet ja kannustimet



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TAVOITTEET

PÄÄTAVOITE: edistää lasten terveyttä

- a) edesauttamalla uusien lääkkeiden ja lääkemuotojen kehittämistä lapsille
- b) varmistaa, että lasten hoitoon käytettävät lääkkeet perustuvat korkeatasoiseen tutkimukseen lääkkeiden tehosta ja turvallisuudesta
- c) lisätä ja parantaa käytettävissä olevaa tietoa lääkkeiden vaikutuksista lapsiin



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TAVOITTEET...



◊ Lapsilla tulee välttää turhia tutkimuksia

◊ Lapsilla tehtävät tutkimukset eivät saa viivästyttää lääkkeiden tuloa aikuisten käyttöön



## ASETUS vs. DIREKTIIVI

### ASETUS

lainvoimainen eli suoraan jäsenvaltioita sitova

### DIREKTIIVI

vaatii implementoinnin kansalliseen lainsäädäntöön



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN PÄÄKOHDAT

Sisältää

- 1) ehdotuksen Lastenlääkekomitean perustamisesta EMA:n
- 2) suunnitelman myyntiluvan saamiseen liittyvistä velvoitteista
- 3) suunnitelman kannustimista teollisuudelle
- 4) suunnitelman tietokannan perustamisesta



## LASTENLÄÄKEKOMITEA

- Tieteellinen komitea EMEA:n yhteyteen
- CHMP:n (Ihmislääkekomitean) edustajia, jäsenvaltioiden edustajia, lääkäreiden ja potilasjärjestöjen edustajia
- jäsenillä asiantuntemusta kaikista lastenlääkkeisiin liittyvistä kysymyksistä:
  - lääkekehitystyöstä, lastentaudeista, farmakologiasta, tutkimuksesta, etiikasta, lääketurvasta jne.



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN KESKEISET EHDOTUKSET

Lastenlääkekomitean tehtävänä mm.

- 1) vastata lastenlääkkeeseen liittyvän tutkimussuunnitelman (PIP) arvioinnista ja hyväksymisestä tai siihen liittyvästä poikkeuslupa- ja lykkäysjärjestelystä
- 2) tarkastella lapsiin kohdistuvien tutkimusten terapeuttisia hyötyjä ja huomioida tarve välttää tarpeettomia tutkimuksia lapsilla



## LASTENLÄÄKKEESEEN LIITTYVÄ TUTKIMUSSUUNNITELMA

- PIP (Pediatric Investigation Plan) esitetään Lastenlääkekomitealle mahdollisimman varhain lääkekehitysprosessia
- PIP:n tulee sisältää täsmälliset tiedot aikatauluineen niistä ehdotetuista toimenpiteistä, joilla osoitetaan lääkkeen laatu, turvallisuus ja teho lapsilla



## LASTENLÄÄKEASETUS...

### POIKKEUKSET

- kaikki lääkkeet eivät sovellu lasten hoitamiseen
- tarpeettomia tutkimuksia tulee välttää

### LYKKÄYKSET

- joissakin tapauksissa hyvä saada jonkin verran alustavia kokemuksia tuotteen käytöstä aikuisilla



## UUTTA MYYNTILUPAA KOSKEVAT VAATIMUKSET

- ◇ Myyntilupahakemukseen tulee liittää lastenlääkkeeseen liittyvä tutkimussuunnitelma arvioinnin osaksi
- ◇ Suoritettujen tutkimusten tulokset on esitettävä hakemuksen yhteydessä, ellei Lastenlääkekomitea ole myöntänyt aiemmin poikkeusta tai lykkäystä



## LASTENLÄÄKKEEN MYYNTILUPA (PUMA= Paediatric Use Marketing Authorization)

- kannustin niille tuotteille, joilla ei ole enää immateriaalisuojaa
- lupa nimenomaan pelkästään lapsille kehitetyille lääkkeille
- lääkkeen nimessä voidaan hyödyntää aikuisten käyttöön hyväksyttyä lääkevalmisteen nimeä



## KANNUSTIMET

6 kk jatko lisäsuojatodistuksen voimassaoloon uusille ja patenttisuojan tai lisäsuojatodistuksen piiriin kuuluville tuotteille

- mikäli tutkimussuunnitelmaa on noudatettu
- lääke on hyväksytty markkinoille kaikissa jäsenvaltioissa
- valmisteyhteenvedossa annetaan asianmukaista tietoa tutkimus tuloksista
- palkkio myös siinä tapauksessa, ettei lupaa lapsia koskevaa käyttöaihetta varten myönnetä (palkkio lapsiin kohdistuvasta tutkimuksesta, ei sen osoittamisesta)



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN KESKEISET EHDOTUKSET...



### HARVINAISLÄÄKKEET

Markkinointiyksinoikeuden jatkaminen 10 v => 12 v

### LASTENLÄÄKKEEN MYYNTILUPA (PUMA)

10-vuoden tietosuoja



## TIETOKANTA LÄÄKKEITTEN KÄYTÖSTÄ LAPSILLA

Tavoitteena

- ◇ lisätä saatavilla olevia tietoja lääkkeitten käytöstä lapsilla
- ◇ hyödyntää EudraCT:tä
- ◇ kerätä tiedot kaikista meneillään olevista, keskeytetyistä ja päätökseen saatetuista lapsiin kohdistuvista tutkimuksista yhteisössä ja kolmansissa maissa



## MUUT KANNUSTIMET...

- ◇ maksuton tieteellinen neuvonta lastenlääkkeiden kehittäjien rahoittajille
- ◇ hakemusten käsittelymaksujen alentaminen
- ◇ tiettyjen arviointien suorittaminen maksutta



## LASTENLÄÄKETUTKIMUSVERKOSTO

- ◇ verkoston tarkoituksena yhdistää toisiinsa jäsenvaltioiden tutkimuskeskukset ja luoda tarvittavaa osaamista Euroopan tasolla ja välttää päällekkäiset tutkimukset



## LÄÄKETUTKIMUKSIA EUROOPAN LASTEN HYVÄKSI (MICE= medicines investigation for the children of Europe)

- ◇ ??
- ◇ Tutkimusrahoituksen järjestäminen patenttisuojan tai lisäsuojatodistuksen piiriin kuulumattomien lääkevalmisteiden tutkimukseen
- ◇ nykyisten yhteisön ohjelmien osaksi?



## LASTENLÄÄKEASETUKSEN TULLESSA VOIMAAN

- ◇ merkittäviä velotteita teollisuudelle
- ◇ merkittäviä velotteita Lastenlääkekomitealla
- ◇ merkittäviä velotteita kansallisille lääkeviranomaisille
  - hakemusten määrä lisääntyy
  - vanhojen lääkkeiden osalta päivityksen tarve
  - tieteellinen neuvonta firmoille
  - asiantuntijatehtävien määrä lisääntyy