

**Valtioneuvoston kirjelmä Eduskunnalle ehdotuksesta
Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi (lasten-
lääkeasetus)**

Perustuslain 96 §:n 2 momentin perusteella lääkkeistä sekä neuvoston asetuksen (ETY) N:o 1768/92, direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamiseksi sekä muistio ehdotuksesta.

Perustuslain 96 §:n 2 momentin perusteella lähetetään Eduskunnalle Euroopan yhteisöjen komission 29 päivänä syyskuuta 2004 tekemä ehdotus asetukseksi lapsille tarkoitetuista

Helsingissä 21 päivänä joulukuuta 2004

Sosiaali- ja terveysministeri *Sinikka Mönkäre*

Hallitusneuvos Pekka Järvinen

SOSIAALI- JA TERVEYSMINISTERIÖ**MUISTIO****ASIA****EHDOTUS EUROOPANPARLAMENTIN JA NEUVOSTON ASETUKSEKSI LAP SILLE
TARKOITETUISTA LÄÄKKEISTÄ SEKÄ NEUVOSTON ASETUKSEN (ETY) N:O
1768/92, DIREKTIIVIN 2001/83/EY JA ASETUKSEN (EY) N:O 726/2004 MUUTTAMI-
SESTA****1. Yleistä**

Euroopassa jopa yli 50 prosenttia lasten hoitoon käytettävistä lääkkeistä on sellaisia, joiden vaikutuksia lapsiin ei ole tutkittu ja joita ei ole nimenomaisesti hyväksytty käytettäväksi lasten lääkinnässä. Tämä merkitsee huomattavaa ongelmaa lasten lääkehoidon toteuttamisessa, koska lapselle määrätyn lääkkeen tehosta ja turvallisuudesta ei ole saatavilla kattavaa tutkimustietoa.

Yhtenä syynä siihen, että useimpien lääkkeiden vaikutuksia lapsiin ei ole tutkittu, ovat tutkimuksiin liittyvät eettiset kysymykset. Nämä kysymykset on nyt kuitenkin otettu huomioon kliinisistä lääketutkimuksista annetussa Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivissä 2001/20/EY, jonka säännökset on toimeenpantu Suomessa 1 päivänä toukokuuta 2004 voimaan tulleilla säädösmuutoksilla. Myös muut EU-jäsenvaltiot ovat toimeenpanneet vastaavat kliinisiä lääketutkimuksia koskevat säännökset. Lisäksi voidaan todeta, että eettinen ongelma syntyy myös silloin, jos lapselle määrätään lääkettä, jonka vaikutuksista lapseen ei ole tutkimukseen perustuvaa tietoa.

Yhdysvalloissa lapsilla käytettävien lääkkeiden tehon ja turvallisuuden tutkimusta ja lapsilla käytettävien lääkkeiden määrää on lisätty menestyksellisesti lainsäädännöllä, joka tarjoaa kannustimia ja myös velvoitteita lastenlääkkeitä tuottavalle lääketeollisuudelle.

Neuvosto kehotti 14 päivänä joulukuuta 2000 antamassaan päätöslauselmassa komissiota tekemään ehdotuksensa lastenlääkkeiden tutkimuksen ja kehittämisen tukemiseksi sekä tarvittaviksi hallinnollisiksi ja muiksi toimenpiteiksi siten, että lasten erityistarpeet otetaan huomioon niin markkinoille tulevien

kuin myös jo markkinoilla olevien lääkkeiden osalta.

2. Ehdotuksen pääasiallinen sisältö

Ehdotuksessa esitetään annettavaksi asetus lapsille tarkoitetuista lääkkeistä sekä tehtäväksi muutoksia kolmeen EU-säädökseen. Ehdotetun asetuksen tavoitteena on parantaa eurooppalaisten lasten terveyttä lisäämällä lapsille tarkoitettuihin lääkkeisiin liittyvää tutkimusta ja kehittämistä sekä lasten lääkinnällisten tarpeiden huomioon ottamista myyntilupia myönnettäessä.

Ehdotuksen päätavoitteena on lisätä lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämistä, varmistaa tällaisten lääkkeiden tutkimuksen laadukkuus, huolehtia, että lapsille suunnatuille lääkkeille hankitaan asianmukainen juuri tätä tarkoitusta koskeva myyntilupa, parantaa käytettävissä olevia tietoja lääkkeiden käytöstä lasten hoitamiseksi sekä saavuttaa nämä tavoitteet ilman turhia lapsilla tehtäviä kliinisiä tutkimuksia ja noudattaen kliinisiä lääketutkimuksia koskevaa EU-direktiiviä.

Euroopan lääkeviraston (EMA) yhteyteen perustettava pediatrian komitea on ehdotuksen päätavoitteiden saavuttamisen kannalta keskeisessä asemassa. Pediatrian komitea, jolla tulee olla asiantuntemusta ja osaamista lasten lääkehoidosta, lääkkeiden kehittämisestä ja arvioinnista, vastaa lääkkeiden myyntiluvan edellytyksenä olevien pediatrien tutkimussuunnitelmien arvioinnista ja hyväksymisestä sekä vastaa päätöksistä, jotka liittyvät poikkeuksien ja lykkäysten myöntämiseen myyntiluvan hakijalle. Lisäksi pediatrian komitea voi arvioida tutkimussuunnitelman noudattamista ja tutkimusten tulo-

sia. Työssään pediatrian komitea tarkastelee lapsilla tehtävien tutkimusten terapeuttisia hyötyjä ja estää tarpeettomat tutkimukset.

Ehdotuksen keskeisenä periaatteena on se, että ennen uuden lääkkeen myyntilupahakemuksen jättämistä myyntiluvan hakijan tulee laatia pediatriinen tutkimussuunnitelma. Tutkimus lapsilla on tehtävä vain silloin, kun lääkkeestä voidaan olettaa olevan hyötyä lapsille. Lapsilla tehtävät tutkimukset eivät saa viivästyttää myyntiluvan myöntämistä muiden väestöryhmien hoitoon. Kaikkien loppuun saatettujen ja hyväksytyjen pediatrien tutkimussuunnitelmien mukaisesti suoritettujen tutkimusten tulokset on esitettävä myyntilupahakemuksen yhteydessä, ellei pediatrian komitea ole myöntänyt poikkeusta tai lykystä.

Myyntilupahakemusta käsitellessään lupaviranomaisen on tarkistettava, että hyväksyttyä pediatriasta tutkimussuunnitelmaa on noudatettu. Jos myyntilupahakemuksessa esitetään lääkkeelle vähintään yksi hyväksytyn pediatrien tutkimusohjelman tuloksiin perustuva pediatrien käyttötarkoitus, myyntilupahakemus voidaan käsitellä EU:n keskitettyä myyntilupamenettelyä käyttäen.

Erilaisilla EU-tason palkkioilla ja kannustimilla pyritään lisäämään lastenlääkkeisiin liittyvää tutkimusta ja kehittämistä.

Palkkioksi ja kannustimeksi uusille lääkkeille ja patenttisuojan tai lisäsuojatodistuksen piiriin kuuluville tuotteille myönnetään kuuden kuukauden jatkoaika patentin lisäsuojatodistuksen voimassaoloon, mikäli kaikkia hyväksytyn pediatrien tutkimusohjelman sisältämiä toimenpiteitä on noudatettu, kyseinen tuote on hyväksytty kaikissa jäsenvaltioissa ja valmisteyhteenvedossa annetaan asianmukaiset tiedot tutkimustuloksista. Koska lisäsuojatodistuksen pidennys myönnetään lapsilla tehdyistä tutkimuksista eikä sen osoittamisesta, että lääke on turvallinen ja tehokas lapsilla käytettynä, pidennyksen saa myös siinä tapauksessa, että lupaa pediatriseen käyttötarkoitukseen ei myönnetä. Hyväksytyn lääkkeen valmisteyhteenvedoon on kuitenkin kirjattava asianmukaiset tiedot lapsille tehtyjen

tutkimusten tuloksista.

Palkkioksi ja kannustimeksi niille jo käytössä oleville lääkkeille, joilla ei enää ole teollisoikeudellista suojaa ehdotetaan uudenlaista lastenlääkkeen myyntilupaa (Paediatric Use Marketing Authorisation – PUMA). Lastenlääkkeen myyntiluvan myöntämisessä noudatetaan käytössä olevia lupamenettelyjä, mutta lupa myönnetään nimenomaan pelkästään lapsille kehitetylle lääkevalmisteelle. Lastenlääkkeen myyntiluvan saaneen lääkkeen nimessä voidaan hyödyntää vastaavan aikuisten käyttöön hyväksytyn valmisteen kauppanimeä. Lastenlääkkeen myyntiluvan saaneen lääkkeen tuotenimeen on kuitenkin liitettävä yläindeksinä merkitty kirjain P helpottamaan valmisteen tunnistamista ja lääkemääräyksen tekemistä.

EU:n harvinaislääkeasetuksen perusteella hyväksytyille harvinaislääkkeille ehdotetaan markkinointiyksinoikeuden kymmenvuotisen keston jatkamista kahtentoista vuoteen, jos myös lasten hoitoon liittyvät tietovaatimukset täyttyvät.

Näiden palkkioiden ja kannustimien lisäksi yhteisössä ja jäsenvaltiossa voisi ehdotuksen mukaan olla muita kannustimia, joilla lastenlääkkeitä koskevaa tutkimusta ja kehittämistä ja niiden saatavuutta parannetaan. Muista toteutetuista kannustintöimenpiteistä tulisi avoimuuden varmistamiseksi toimittaa tiedot komissiolle.

Merkittäviä kannustimia ovat lisäksi ehdotukseen sisältyvä EMEA:n antama maksuton tieteellinen neuvonta lastenlääkkeiden kehittäjille, hakemusten käsittelymaksujen alentaminen ja tiettyjen arviointien suorittaminen maksutta.

Päällekkäisten lapsilla tehtävien tutkimusten välttämiseksi ja lastenlääkkeiden käytöstä saatavien tietojen lisäämiseksi ehdotetaan kliinisten lääketutkimusten tietokannan (EudraCT) yhteyteen perustettavaan tietokantaan kerättäväksi tiedot kaikista meneillään olevista ja päätökseen saatetuista pediatriasta tutkimuksista ja niiden tuloksista.

Ehdotuksen mukaan pediatrian komitean tulee laatia luettelo lapsiin liittyvistä hoidollisista tarpeista. Luettelon perus-

teenä tulee olla selvitys lääkkeiden nykyisestä käytöstä Euroopassa. Lisäksi ehdotetaan perustettavaksi yhteisön verkosto, joka yhdistää toisiinsa jäsenvaltioiden verkot ja kliiniset tutkimuskeskukset. Verkoston avulla välitetään tarvittavaa osaamista Euroopan tasolla ja helpotetaan tutkimusten tekemistä, lisättään yhteistyötä ja vältetään tutkimusten päällekkäisyys.

Ehdotuksen mukaan ennen sen voimaantuloa päätökseen saatetut kliiniset lääketutkimukset eivät oikeuta asetuksessa ehdotettaviin EU-tason palkkioihin tai kannustimiin. Ne otetaan kuitenkin huomioon ehdotuksessa olevien vaatimusten osalta, ja yritykset velvoitetaan toimittamaan tutkimustensa tulokset toimivaltaiselle viranomaiselle asetuksen tullessa voimaan.

3. Ehdotuksen vaikutukset Suomele

Asetus olisi suoraan Suomessa sovellettavaa yhteisölainsäädäntöä. Ehdotuksella olisi vähäisiä taloudellisia vaikutuksia, jotka johtuvat jäsenvaltioiden viranomaisiin kohdistetusta velvollisuudesta toimittaa EudraCT:n yhteyteen perustettavaan tietokantaan tiedot kaikista meneillään olevista ja päätökseen saatetuista lastenlääketutkimuksista yhteisössä ja sen ulkopuolella. Ehdotettu tietojen antovelvollisuus tulee lisäämään Lääkelaitoksen tehtäviä.

Ehdotus edellyttää kansallisen patenttilain 70 c §:n muuttamista siten, että myös lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkamista koskevasta hakemuksesta tulisi suorittaa maksu, mikä vastaisi lääkkeiden lisäsuojatodistuksen aikaansaamista koskevan asetuksen 8 artiklan 2 kohtaan esitettyä muutosta. Lisäksi ehdotus edellyttää kansallisen patenttiasetuksen muuttamista joidenkin lisäsuojatodistusta koskevien säännösten osalta.

4. Asian käsittely

Komissio on antanut asetusehdotuksen 29 päivänä syyskuuta 2004. Neuvoston työryhmä on kokoontunut kahdesti. Sosiaali- ja terveysministeriö on saanut lausunnot komissi-

on asetusehdotuksesta seuraavilta tahoilta: kauppa- ja teollisuusministeriö, Lääkelaitos, Suomen Akatemia, Lääketeollisuus ry, Suomen Lastenlääkäriyhdistys ry, Suomen Potilasliitto ry, Suomen Farmasialiitto ry, Suomen Apteekkariliitto ry, Suomen Lääkäriliitto ry ja Yliopiston Apteekki, Helsingin yliopiston lääketieteellinen tiedekunta, Turun yliopiston lääketieteellinen tiedekunta, Tampereen yliopiston lääketieteellinen tiedekunta, Kuopion yliopiston farmaseuttinen ja lääketieteellinen tiedekunta, Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiirin kuntaryhmä, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri, Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri, Pohjois-Savon sairaanhoitopiiri ja Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri. Terveysjasto on käsitellyt asetusehdotusta kokouksessaan 18 päivänä marraskuuta 2004.

5. Valtioneuvoston kanta

Valtioneuvosto kannattaa komission ehdotusta. Yhdenmukaiset menettelytavat, kannustimet ja palkkiot ja velvoitteet lisäävät kansanterveyttä ja lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämistä, lastenlääkkeiden tutkimuksen laatua sekä parantavat käytettävissä olevia tietoja lääkkeiden käytöstä lasten hoidossa.

Ehdotettu asetus on sisällöllisesti keskeisiltä osiltaan asianmukainen. Kolmen yksityiskohdan osalta on kuitenkin perusteltua pohdita, tulisiko asetusta vielä täsmentää tai muuttaa.

Pediatrician komitea on jäsenmäärältään riittävä, mutta puutteena voidaan pitää sitä, että ehdotuksen mukaan pediatrician komitean jäsenillä ei ole muiden EMEA:n tieteellisten komiteoiden tapaan varajäseniä. Siksi ehdotusta tulisi muuttaa siten, että jäsenillä tulisi olla varajäsen, joka voisi osallistua täysivaltaisesti kokoukseen varsinaisen jäsenen ollessa poissa kokouksesta.

Patentin lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkamista koskeva ehdotus aiheuttaa täsmennys- ja muutostarpeita sekä asetusehdotukseen että kansallisiin säädöksiin. Asetuksen soveltamista sen voimaantulohetkellä vireillä oleviin lisäsuojatodistushakemuksiin tulee vielä selvittää. Ehdotuksen mukaan li-

säsuojatodistuksen kuuden kuukauden pidennyksen myöntäminen edellyttää myyntilupaa koskevan jäljennöksen lisäksi tarvittaessa jäljennökset myyntiluvista kaikissa muissa jäsenvaltioissa. Kaikkien myyntilupapäätösten jäljennösten toimittaminen niiden alkuperäisillä kielillä olisi hallinnollisesti raskasta sekä patentinhakijan että patenttiranomaisen kannalta. Parempi vaihtoehtoinen menettely olisi lisäsuojatodistuksen hakijan antama vakuutus siitä, että asetuksen mukai-

set myyntilupaa koskevat edellytykset ovat täyttyneet kaikissa jäsenvaltioissa tai hakijan mahdollisuus viitata nykyiseen keskitettyyn myyntilupamenettelyyn.

EudraCT tietokannan yhteyteen kerättävien tietojen osalta tulisi asetusta täsmentää siten, että raportointi koskisi niitä tutkimuksia, jotka tehdään asetuksen voimaantulon jälkeen, mutta raportointi ennen asetuksen voimaantumista tehtyjen tutkimusten osalta olisi vapaaehtoista.