

**Statsrådets skrivelse till Riksdagen med anledning av
ett förslag till Europaparlamentets och rådets förordning
(förordning om läkemedel för pediatrik användning)**

I enlighet med 96 § 2 mom. i grundlagen översänds till Riksdagen Europeiska gemenskapernas kommissions förslag av den 29 september 2004 till förordning om läkemedel för pediatrik användning och om ändring av rådets förordning (EEG) nr 1768/92, direktiv 2001/83/EG och förordning (EG) nr 726/2004 samt en promemoria om förslaget.

Helsingfors den 21 december 2004

Social- och hälsovårdsminister *Sinikka Mönkäre*

Regeringsråd Pekka Järvinen

SOCIAL- OCH HÄLSOVÅRDSMINISTERIET

PROMEMORIA

Ärende

**FÖRSLAG TILL EUROPAPARLAMENTETS OCH RÅDETS FÖRORDNING OM
LÄKEMEDEL FÖR PEDIATRISK ANVÄNDNING OCH OM ÄNDRING AV
FÖRORDNING (EEG) NR 1768/92, DIREKTIV 2001/83/EG OCH FÖRORDNING (EG)
NR 726/2004**

1. Allmänt

Mer än 50 procent av de läkemedel som används för behandling av barn i Europa är sådana vars effekter på barn inte har testats och som inte uttryckligen har godkänts för användning på barn. Detta innebär ett betydande problem när det gäller medicineringen av barn, eftersom det inte finns någon heltäckande forskning om effekterna och säkerheten i fråga om de mediciner som ordinerar barn.

En av orsakerna till att effekterna av de flesta mediciner på barn inte har undersökts är de etiska frågorna i samband med undersökningarna. Nu har dessa frågor dock beaktats i Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/20/EG om kliniska prövningar av humanläkemedel. Bestämmelserna i direktivet har i Finland verkställts genom författningsändringar som trädde i kraft den 1 maj 2004. Också de övriga EU-medlemsstaterna har verkställt motsvarande bestämmelser gällande kliniska läkemedelsprövningar. Dessutom kan det konstateras att etiska problem uppstår även när ett barn ordinerar läkemedel om vars effekter på barn ingen forskningsbaserad information finns att tillgå.

I Förenta staterna har man med framgång ökat forskningen kring pediatrika läkemedels effekter och säkerhet och användningen av läkemedel för pediatrik användning genom lagstiftning, som medför incitament och även skyldigheter för läkemedelsindustrin i fråga om läkemedel för pediatrik användning.

Rådet uppmånade i sin resolution av den

14 december 2000 kommissionen att inkomma med förslag om administrativa och andra åtgärder för stödande av forskningen kring och utvecklandet av läkemedel för pediatrik användning i syfte att säkerställa att nya läkemedel för barn och läkemedel som redan saluförs är anpassade för barns specifika behov.

2. Förslagets huvudsakliga innehåll

I förslaget föreslås att en förordning om läkemedel för pediatrik användning utfärdas och att ändringar görs i tre EU-rättsakter. Målet med den föreslagna förordningen är att förbättra hälsotillståndet för Europas barn genom att öka forskningen kring och utvecklingen av läkemedel för behandling av barn samt att beakta barns medicinska behov när läkemedel godkänns för försäljning.

Förslagets allmänna mål är att påskynda utvecklingen av läkemedel för behandling av barn, att säkerställa att läkemedel som används vid behandling av barn är föremål för forskning av hög kvalitet, att säkerställa att läkemedel som används vid behandling av barn är särskilt godkända för behandling av just barn och är godkända för försäljning, att förbättra tillgången till information om användning av läkemedel vid behandling av barn och att uppnå dessa mål utan att barn utsätts för onödiga kliniska prövningar och i överensstämmelse med EU:s direktiv om kliniska läkemedelsprövningar.

Den pediatrika kommitté som inrättats vid Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) är i en central position med tanke på förslagets allmänna mål. Pediatrika

kommittén, som skall besitta expertis och kompetens i läkemedelsbehandling av barn och i utveckling och utvärdering av läkemedel, ansvarar för den utvärdering och det godkännande av pediatrika prövningsprogram som förutsätts för att läkemedel skall godkännas för försäljning samt för beslut som gäller undantag och uppskov för den som ansöker om godkännande för försäljning. Dessutom kan Pediatrika kommittén bedöma överensstämmelsen med pediatrika prövningsprogram och resultaten av studier. I sitt arbete skall kommittén överväga de terapeutiska fördelarna med studier på barn och förhindra onödiga studier.

Den centrala principen i förslaget är att den som ansöker om godkännande för försäljning av ett nytt läkemedel skall utarbeta ett pediatrikt prövningsprogram innan ansökan lämnas. Studier på barn skall utföras endast när läkemedlet kan förväntas medföra fördelar för barn. Studier på barn får inte fördröja beviljandet av godkännande för försäljning för behandling av andra befolkningsgrupper. Resultaten av alla studier som utförts i enlighet med ett slutfört, godtaget pediatrikt prövningsprogram skall läggas fram i samband med ansökan om godkännande för försäljning, om inte Pediatrika kommittén har beviljat undantag eller uppskov.

Tillståndsmyndigheten skall vid handläggningen av ansökningar om godkännande för försäljning kontrollera att ett godtaget pediatrikt prövningsprogram följts. Om ansökan om godkännande för försäljning innehåller minst ett pediatrikt användningsändamål som baserar sig på resultaten av ett godtaget pediatrikt prövningsprogram, kan ansökan om godkännande för försäljning behandlas enligt EU:s centraliserade förfarande för godkännande för försäljning.

Genom olika slags belöningar och incitament på EU-nivå försöker man öka forskningen kring och utvecklingen av läkemedel för pediatrik användning.

Som belöning och incitament för nya läkemedel och produkter som omfattas av ett patent eller ett tilläggsskydd kan en förlängning med sex månader av

skyddsperioden medges förutsatt att alla de åtaganden som ingår i det godtagna pediatrika prövningsprogrammet har uppfyllts, att produkten är godkänd i samtliga medlemsstater och att relevanta uppgifter om resultaten av studierna ingår i sammanfattningen om produktens egenskaper. Eftersom förlängningen av tilläggs skyddet avser studier på barn och inte att man visat att ett läkemedel är säkert och effektivt vid behandling av barn, beviljas förlängningen även i de fall då en pediatrik behandlingsindikation inte godkänns. I sammanfattningen om ett godkänt läkemedels egenskaper skall dock ingå relevanta uppgifter om resultaten av studier på barn.

Som belöning och incitament för de läkemedel som redan är i bruk och som inte längre omfattas av industriellt rättsskydd föreslås en ny typ av godkännande för försäljning (Paediatric Use Marketing Authorisation – PUMA). För ett sådant pediatrikt godkännande kan de befintliga förfarandena för godkännande för försäljning utnyttjas, men det avser specifikt läkemedelspreparat som utvecklats uteslutande för behandling av barn. Namnet på ett läkemedel som beviljats ett pediatrikt godkännande kan grunda sig på det befintliga handelsnamnet på motsvarande produkt som godkänts för vuxna. Produktnamnet på ett läkemedel som meddelats ett sådant godkännande skall dock förses med bokstaven "P" i upphöjd skrift för att underlätta igenkännandet och förskrivningen.

I fråga om särlekemedel som godkänts med stöd av EU-förordningen om särlekemedel föreslås det att ensamrätten på marknaden förlängs från tio år till tolv år, om kravet på uppgifter om användning för behandling av barn uppfylls.

Utöver dessa belöningar och incitament kan det i gemenskapen och i medlemsstaterna enligt förslaget finnas andra incitament för förbättrande av forskningen kring, utvecklingen av och tillgången på läkemedel för pediatrik användning. Uppgifter om andra incitament som tillämpats skall för öppenhetens skull tillställas kommissionen.

Viktiga incitament är också den gratis

vetenskapliga rådgivning som EMEA enligt förslaget skall stå till tjänst med för dem som utvecklar läkemedel för barn, sänkta avgifter för handläggningen av ansökningar och att vissa bedömningar görs utan avgift.

För undvikande av överlappande studier på barn och för att öka informationen om pediatrik användning av läkemedel föreslås det att uppgifter om alla pågående och slutförda pediatrika studier och resultaten av dem samlas i en databas som upprättas i anslutning till gemenskapsdatabasen över kliniska prövningar (EudraCT).

Enligt förslaget skall Pediatrika kommittén upprätta en förteckning över barns pediatrika behov. Förteckningen skall basera sig på en utredning om den nuvarande användningen av läkemedel i Europa. Enligt förslaget skall det dessutom skapas ett gemenskapsnätverk som länkar samman de nationella nätverken och centren för kliniska prövningar. Syftet med nätverket är att förmedla nödvändig kompetens på europeisk nivå och underlätta bedrivandet av studier, förbättra samarbetet och undvika att samma studier genomförs mer än en gång.

Enligt förslaget berättigar kliniska läkemedelsprövningar som slutförts innan förordningen träder i kraft inte till de belöningar och incitament på EU-nivå som föreslås i förordningen. De kommer dock att beaktas i samband med de krav som ingår i förslaget och företagen förpliktas att lämna in resultaten av studierna till de behöriga myndigheterna så snart förordningen träder i kraft.

3. Konsekvenser i Finland

Förordningen utgör gemenskapslagstiftning som är direkt tillämplig i Finland. Förslaget har ringa ekonomiska konsekvenser som följer av skyldigheten för medlemsstaternas myndigheter att lämna in uppgifter om alla pågående och slutförda studier om läkemedel för barn inom gemenskapen och utanför den till den databas som upprättas i anslutning till EudraCT. Den föreslagna skyldigheten att lämna uppgifter kommer att öka Läkemedelsverkets uppgifter.

Förslaget förutsätter att 70 c § i Finlands patentlag ändras så, att avgift skall betalas

också för ansökningar som avser förlängning av tilläggsskyddet. Detta motsvarar den ändring som föreslås i artikel 8.2 i förordningen om införande av tilläggsskydd för läkemedel. Dessutom förutsätter förslaget att Finlands patentförordning ändras i fråga om vissa bestämmelser om tilläggsskydd.

4. Behandlingen av ärendet

Kommissionen avgav sitt förslag till förordning den 29 september 2004. Rådets arbetsgrupp har sammankommit två gånger. Social- och hälsovårdsministeriet har fått utlåtanden om kommissionens förslag till förordning från följande instanser: handels- och industriministeriet, Läkemedelsverket, Finlands Akademi, Lääketeollisuus ry, Barnläkarföreningen i Finland rf, Finlands Patientförbund rf, Finlands Farmaciförbund rf, Finlands Apotekareförbund rf, Finlands Läkarförbund rf och Yliopiston Apteekki, medicinska fakulteten vid Helsingfors universitet, medicinska fakulteten vid Åbo universitet, medicinska fakulteten vid Tammerfors universitet, farmaceutiska och medicinska fakulteterna vid Kuopio universitet, samkommunen Helsingfors och Nylands sjukvårdsdistrikt, Birkalands sjukvårdsdistrikt, Egentliga Finlands sjukvårdsdistrikt, Norra Savolax sjukvårdsdistrikt och Norra Österbottens sjukvårdsdistrikt. Hälsosektionen behandlade förslaget till förordning vid sitt möte den 18 november 2004.

5. Statsrådets ståndpunkt

Statsrådet understöder kommissionens förslag. Enhetliga förfaranden, incitament, belöningar och skyldigheter förbättrar folkhälsan och utvecklandet av läkemedel som är avsedda för barn, kvaliteten på forskningen kring läkemedel för pediatrik användning samt den tillgängliga informationen om användningen av läkemedel för behandling av barn.

Innehållet i den föreslagna förordningen är i huvudsak ändamålsenligt. På tre punkter är det dock skäl att överväga om förordningen ytterligare borde preciseras eller ändras.

Pediatrika kommitténs medlemsantal är

tillräckligt, men det kan anses vara en brist att medlemmarna i kommittén enligt förslaget inte har några suppleanter, till skillnad från andra vetenskapliga kommittéer vid EMEA. Därför bör förslaget ändras så, att medlemmarna har suppleanter som har fulla befogenheter att delta i mötena när den ordinarie medlemmen är frånvarande.

Förslaget om förlängning av tilläggsskyddet för patent föranleder ett behov att precisera och ändra både förslaget till förordning och nationella författningar. Tillämpningen av förordningen på ansökningar om tilläggsskydd som är anhängiga när förordningen träder i kraft bör förtydligas. Enligt förslaget förutsätter beviljandet av en sex månaders förlängning av tilläggsskyddet inte bara en kopia av godkännandet för försäljning utan vid behov också kopior av godkännandena för

försäljning i alla andra medlemsstater. Att lämna in kopior av alla beslut om godkännande för försäljning på originalspråk vore administrativt tungrovt både för den sökande och för patentmyndigheten. Ett bättre förfarande vore den sökandes försäkran om att de i förordningen fastställda förutsättningarna för godkännande för försäljning uppfylls i alla medlemsstater, eller att den sökande kan hänvisa till det nuvarande centraliserade förfarandet för beviljande av godkännande för försäljning.

I fråga om de uppgifter som samlas i anslutning till databasen EudraCT bör förordningen preciseras så, att rapporteringen gäller de studier som utförs efter att förordningen träder i kraft. Rapporteringen gällande studier som genomförts innan förordningen träder i kraft bör dock vara frivillig.