



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

8. helmikuuta 2016  
EMA/171281/2016  
Johtaja

## Vuoden 2016 työohjelman johdanto

Johtaja Guido Rasi

### **Euroopan lääkeviraston painopistealueet ja toimintaympäristö**

Euroopan lääkealan sääntelyverkosto koostuu noin 50:stä ihmisille ja eläimille tarkoitettujen lääkkeiden sääntelyviranomaisesta ("kansallisista toimivaltaisista viranomaisista"). Ne edustavat 31:tä Euroopan talousalueen valtiota ja Euroopan lääkevirastoa. Verkostolla on käytettävissään tuhansia asiantuntijoita jäsenvaltioista eri puolilta Eurooppaa. Näin verkostossa voidaan hyödyntää parasta mahdollista asiantuntemusta lääkkeiden sääntelyssä Euroopan unionissa.

Täyttääkseen vastuunsa Euroopan lääkevirasto työskentelee tiiviisti kansallisten toimivaltaisten viranomaisten kanssa. Tämä tarkoittaa sitä, että toimintaympäristön suuntaukset, työmäärää koskevat ennusteet sekä monet tässä ohjelma-asiakirjassa kuvatut tavoitteet ja toimet vaikuttavat myös kansallisiin viranomaisiin ja niiden työskentelyyn sekä edellyttävät niiden panosta ja tukea.

Euroopan lääkevirasto toimii jatkuvasti muuttuvassa ja kehittyvässä ympäristössä. Sen työtä ohjaa lääketeollisuuden kehitys, ja viraston toimintaan vaikuttavat esimerkiksi globalisaatio, lääkekehityksen monimutkaistuminen, sidosryhmien avoimuutta koskevat vaatimukset ja keskeiset lainsäädännölliset muutokset.

#### **Työmäärän kehitys**

Viraston toiminta perustuu kysyntään. Läketeollisuuden kehitys ja markkinoilla olevien lääkevalmisteiden määrä vaikuttavat merkittävästi luvan myöntämistä edeltävien toimien määrään, alkuperäisten myyntilupahakemusten määrään ja niihin liittyvien markkinoille tulon jälkeisten toimien määrään. Näiden toimien määrä kasvaa vakaasti.

Tieteellistä neuvontaa koskevien pyyntöjen ja seurannan kehitys on ollut myönteistä viime vuosina. Virasto alkaa vuonna 2016 antaa varhaista ja tehostettua tieteellistä ja sääntelyllistä tukea lääkkeiden kehittäjille ensisijaislääkkeitä koskevan suunnitelman (PRIME) avulla.

Virasto saa lääketurvatoimintaa koskevan lainsäädännön täytäntöönpanon päätökseen vuosina 2016–2017. Useita uusia tehtäviä aloitettiin 2015 ja useita on vielä aloittamatta. Näitä ovat esimerkiksi



kansallisesti hyväksytyjen valmisteiden yksi säännöllisten turvallisuuskatsauksien arviointi (PSUSA) vuonna 2015, tulevien julkisten kuulemisten toteuttaminen sekä lääketeollisuuden vuodelta 2017 toimittamien signaalien hallinta. Virasto odottaa PSUSA-menettelyjen määrän kasvavan tulevina vuosina.

Toukokuussa 2014 julkaistussa kliinisiä lääketutkimuksia koskevassa asetuksessa (EU) 536/2014 virasto veloitettiin kehittämään yhdessä Euroopan komission ja jäsenvaltioiden kanssa asetuksen toimeenpanemisessa tarvittavat järjestelmät. Kun tarvittavat järjestelmät on kehitetty ja asetusta aletaan panna täytäntöön, viraston tehtävänä on ylläpitää näitä järjestelmiä ja tukea sidosryhmiä.

EU:n eläinlääkkeitä koskevan lainsäädännön uudistusta koskevan keskustelun odotetaan jatkuvan tulevina vuosina. Lainsäädäntöä aletaan soveltaa aikaisintaan vuonna 2019. Siihen asti virasto keskittyy varmistamaan, että olemassa olevaa oikeudellista kehystä käytetään mahdollisimman tehokkaasti, ja tekemään tarvittavia valmisteluja uudistetun lainsäädännön täytäntöönpanoa varten.

### **Tieteellinen kehitys ja lääkkeiden kehityksen muutokset**

Tieteellinen ja tekninen kehitys määrittävät uudelleen sairauksien tieteellistä perustaa, laajentavat lääkkeiden kehityksen ja käytön suomia mahdollisuuksia ja lisäävät sääntelyä koskevan neuvonnan ja arvioinnin kysyntää. Uudet tekniikat, yksilöllisesti räätälöidyt lääkkeet, uudet hoitomuodot, yhdistelmävalmisteet ja rajatuotteet lisäävät lääkkeiden monimutkaisuutta.

Kestävän ja laadukkaan tieteellisen ja sääntelyllisen asiantuntemuksen saatavuus on ratkaisevaa sääntelyalan menestyksekkään edistymisen kannalta. Siksi verkoston kapasiteetin vahvistaminen ja valmiuksien lisääminen verkoston koulutuskeskuksen avulla, innovaatioverkoston työn tukeminen ja asiantuntemuksen rikastaminen tiedemaailman kanssa tehtävän yhteistyön avulla ovat edelleen tärkeä osa viraston toimintaa.

Samalla lääketeollisuuden toimintaympäristö on muuttumassa: yhä useammat pienet tai keskisuuret yritykset (pk-yritykset) ottavat vastatakseen lääkkeiden kehityksen varhaisista vaiheista. Tällaisessa ympäristössä on tärkeää vahvistaa pk-yritysten tukemista EU:n sääntelyjärjestelmän käytössä, yksinkertaistaa ja helpottaa viraston lähestymistapoja sekä parantaa niiden avoimuutta ja joustavuutta, jotta lisää prospektiivisiä lääkkeitä päätyy niitä tarvitsevien potilaiden saataville.

### **Lupaavien lääkkeiden oikea-aikainen saatavuus**

Potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten odotukset siitä, että lupaavat lääkkeet tulevat saataville mahdollisimman varhain, kasvavat jatkuvasti. Lisäksi kehittyvät kansanterveydelliset uhat edellyttävät jatkuvasti joustavaa ja nopeaa reagointia. Tämän vuoksi on syytä tarkastella lääkkeiden joustavia myyntilupamenettelyjä ja elinkaarilähestymistapaa. Siksi virasto keskittyy tehostamaan olemassa olevien sääntelyvälineiden, kuten ehdollisten myyntilupien ja nopeutetun arvioinnin, hyödyntämistä, tarkastelemaan optimoituja kehitysreittejä ja toteuttamaan uutta ensisijaislääkkeitä koskevaa suunnitelmaa (PRIME). Tieteellisen arvioinnin laadun ylläpitäminen ja lääkkeiden turvallisuuden varmistaminen ovat edelleen ensiarvoisen tärkeitä, ja entistä kattavampi lähestymistapa suunnittelussa ja markkinoille tulon jälkeisten tietojen luomisessa on olennaista näiden tavoitteiden kannalta.

Koska terveystekniikan arvioinnilla ja hinnoittelulla sekä korvauselimillä on suuri merkitys innovatiivisten lääkkeiden saatavuudelle, viraston ja kansallisten toimivaltaisten viranomaisten toinen keskeinen painoalue on tunnistaa mahdolliset synergiat sekä yhteistyön vahvistaminen ja tietojenvaihto terveysteknologiaa arvioivien tahojen kanssa myyntilupien myöntämisen yhteydessä.

## **Globalisaatio**

Lääkealan globalisaatio johtaa siihen, että yhä useammat valmistukseen ja kliiniseen tutkimukseen liittyvät toimet tehdään EU:n ulkopuolella. Kun tähän yhdistetään kansainvälisten toimitusketjujen monimutkaisuus, on haastavaa varmistaa vaadittujen kliinisiä tutkimuksia ja valmistusta koskevien standardien noudattaminen, tietojen eheys sekä toimitusketjuun ja väärentämiseen liittyvien riskien pysyminen hallinnassa.

Jotta voidaan varmistaa, että EU:n ulkopuolella testatut ja valmistetut lääkkeet täyttävät EU:n vaatimukset, virasto ja kansalliset toimivaltaiset viranomaiset lujittavat edelleen yhteistyötä kansainvälisten kumppaneiden kanssa työnjaon, yhteisten tarkastusten, tiedonvaihdon, keskinäisen luottamuksen parantamisen, standardien yhtenäistämisen ja valmiuksien lisäämisen osalta etenkin maissa, joissa lääkkeitä valmistetaan ja kliinisiä tutkimuksia tehdään. Mitä tulee eläinlääkkeitä koskeviin standardeihin, keskitymme erityisesti vaalimaan kansainvälistä yhteistyötä eläinlääkkeiden rekisteröinnin teknisten vaatimusten yhdenmukaistamiseksi (VICH). Tarkoituksena on ulottaa VICH-ohjeistus maihin, joiden sääntelyjärjestelmät eivät ole kovin kehittyneitä.

## **Kansanterveyttä koskevat painopistealueet**

Mikrobilääkeresistenssi on kasvava ongelma niin ihmisten kuin eläintenkin osalta. Ongelman vakavuus on tunnustettu myös Maailman terveysjärjestön (WHO:n) laatimassa mikrobilääkeresistenssiä koskevassa maailmanlaajuisessa toimintasuunnitelmassa. Tämä korostaa sitä, että mikrobilääkeresistenssi on yhtä tärkeä maailmanlaajuinen terveyskriisi kuin tartuntatautien aiheuttamat pandemiat. Mikrobilääkeresistenssin ehkäisy on edelleen tärkeä osa viraston toimintaa, ja virasto antaa tarvittavaa tukea Euroopan komission toimintasuunnitelmalle, transatlanttisille ja WHO:n aloitteille, Yksi terveys” -mallin toteuttamiselle sekä keskeisten ohjeiden laatimiselle tai päivittämiseksi (pediatrinen näkökulma mukaan lukien). Virasto pyrkii myös tasapainottamaan mikrobilääkkeiden jatkuvan saatavuuden eläinlääketieteessä ja niiden ihmisen terveydelle aiheuttamien riskien minimoinnin.

Vanhon mikrobilääkeresistenssiin liittyvien ongelmien lisäksi syntyy uusia sairauksia ja uusia ongelmia. Yhteiskunnalliset suuntaukset, kuten väestön ikääntyminen, monilääkehoito, samanaikaisesti esiintyvät sairaudet sekä uudet ja uudelleenmääritetyt sairaudet, kuten dementia, muodostuvat entistä isommaksi taakaksi kansanterveydelle. Virasto toteuttaa geriatrasta strategiaansa, tunnistaa ensisijaisia tutkimuskohteita pediatriassa ja osallistuu useisiin dementiaan ja Alzheimerin tautiin liittyviin toimiin. Lisäksi virasto jatkaa harvinaisten sairauksien hoitoon tarkoitettujen lääkkeiden kehittämisen helpottamista ja tunnistaa alueita, joita on tutkittava lisää.

Virasto käsittelee puutteita ja varmistaa hyväksytyjen lääkkeiden saatavuuden jatkamalla valmistajien ja myyntiluvan haltijoiden ennakoivan riskinhallinnan edistämistä sekä varmistaa tuotteiden laadun ja toimitusketjujen jatkuvuuden valvonnan avulla. Koska lääkkeiden saatavuuteen vaikuttavat muutkin asiat kuin toimitus, virasto tukee myös lisätoimia, joilla voidaan käsitellä saatavuutta laajemmin olemassa olevilla foorumeilla kansallisten toimivaltaisten viranomaisten kanssa.

Lisäksi virasto parantaa reagointimekanismejaan kansanterveydellisiin kriiseihin. Tämä työ perustuu pandeemisesta influenssasta ja Ebola-työstä saatuihin kokemuksiin.

## **Eläinlääkkeet**

Monipuolisten, laadukkaiden, turvallisten ja tehokkaiden eläinlääkkeiden riittävän saatavuuden varmistaminen on edelleen Euroopan unionin sääntelyviranomaisten tärkein tavoite. Euroopan komissio on ehdottanut kunnianhimoisia muutoksia eläinlääkkeiden oikeudelliseen kehikseen. Niiden tavoitteena on varmistaa, että seuraavien vuosien aikana hyväksyttävä lainsäädäntö täyttää eläinlääketieteen erityistarpeet tarvittaessa. Uudet hoidot, joita on aiemmin käytetty vain ihmisillä,

alkavat levitä eläinlääketieteen puolelle, ja viraston on kehitettävä tai muokattava sääntelyvaatimuksia verkoston asiantuntemuksen avulla, jotta EU:n markkinat houkuttelevat tällaisia tuotteita. Valmisteiden, joilla on toissijainen käyttötarkoitus ensisijaisilla eläinlajeilla tai käyttötarkoitus toissijaisilla eläinlajeilla (MUMS), markkinoille pääsyä helpotetaan edelleen alentamalla niiden tuotteiden maksuja, joista katsotaan olevan eniten hyötyä eläinten terveydelle tai kansanterveydelle. Erityistä huomiota kiinnitetään haasteisiin, jotka liittyvät uusien rokotteiden tuomiseen markkinoille, ja sen varmistamiseen, että viime vuosina merkittävästi lisääntyneeseen eksoottisten sairauksien rantautumiseen pystytään vastaamaan nopeasti.

### **Sidosryhmien osallistuminen ja avoimuus**

Koska useat sidosryhmät osallistuvat toimintaan aina kehityksen varhaisista vaiheista lääkkeiden saatavuuteen ja potilaskäyttöön asti, virasto on jatkuvassa vuorovaikutuksessa sidosryhmien kanssa ja osallistaa niitä sääntelymenettelyihin parhaalla mahdollisella tavalla. Tähän sisältyy sidosryhmien kanssa käytävän vuorovaikutuksen puitteiden kehittäminen ja täytäntöönpano, potilaiden arvojen ja mieltymysten huomioiminen lääkkeiden riskinarvioinnissa, julkiset kuulemiset, mielipidekyselyt, joiden avulla saadaan selkeä kuva sidosryhmien tarpeista ja odotuksista ja voidaan täyttää ne, ja jatkuva yhteistyö EU:n virastojen kanssa yhteistä etua edustavilla aloilla.

Potilaat, kuluttajat ja terveydenhuollon ammattilaiset vaativat suurta avoimuutta sekä lisää entistä parempaa tietoa päätöksenteon tueksi. Yhteiskunta haluaa nähdä, millaisia tuloksia kliinisistä tutkimuksista ja lääketurvatoiminnasta sekä muista lääkkeiden elinkaaren vaiheista saadaan. Sidosryhmät ja koko yhteiskunta siis seuraavat yhä tarkemmin kaikkia viraston työn eri puolia, alustavasta arvioinnista myyntiluvan myöntämisen jälkeiseen seurantaan saakka. Siksi avoimuus on viraston ensisijaisia tavoitteita. Kliinisten tietojen julkisuutta ja saatavuutta koskevien periaatteiden toteuttaminen on myös yksi tärkeä näkökohta viraston avoimuutta koskevissa aloitteissa vuonna 2016.

### **Sääntelytoiminnan laadun ja tehokkuuden parantaminen**

Tehokkuus on keskeinen tekijä, jota sääntelytoimien onnistunut toteuttaminen sekä koko ajan lisääntyvistä vastuista ja alati monimutkaistuvista sääntelymenettelyistä selviäminen edellyttävät. Tämä on erityisen tärkeää, kun jäsenvaltioihin kohdistuu edelleen taloudellisia paineita ja sääntelyviranomaiset ovat joutuneet säästämään kustannuksia hoitaessaan velvollisuuksiaan. Euroopan lääkevirasto joutuu muiden EU:n virastojen tavoin vähentämään henkilöstön määrää 10 prosentilla vuosina 2014–2020<sup>1</sup>. Samaan aikaan lainsäädännölliset muutokset lisäävät Euroopan lääkealan sääntelyviranomaisten velvollisuuksia.

Virasto jatkaa sisäisten menettelyjen parantamista ja toteuttaa edelleen prosessinhallintajärjestelmää, jolla tehostetaan ja optimoidaan toimintaa. Osana kansallisten toimivaltaisten viranomaisten työn tukemista virasto ottaa käyttöön telemaattisia järjestelmiä, joita hyödynnetään lakisääteisten vaatimusten toteuttamisessa ja toiminnan laadun parantamisessa, lisää valmiuksia verkoston koulutuskeskuksen avulla ja tukee työn jakamista eri aloilla.

Mitä globalisaatioon tulee, sääntelyviranomaiset ympäri maailmaa tunnustavat yhä yleisemmin mahdollisuuden ja tarpeen luoda synergioita, välttää päällekkäisyyksiä ja tehostaa globaalien sääntelyresurssien käyttöä. Virasto jatkaa yhteistyötä EU:n ulkopuolisten toimivaltaisten viranomaisten ja sääntelyviranomaisten kanssa. Tämä lisää luottamusta toisten osapuolien tekemiin tarkastuksiin ja arviointitoimiin, kehittää valmisteita koskevaa tietojenvaihtoa koko elinkaaren ajan, lisää yhteistyötä tietyillä aloilla sekä vahvistaa sääntelyviranomaisten kapasiteettia ja valmiuksia maissa, joissa järjestelmät eivät ole kovin kehittyneitä.

<sup>1</sup> Komission tiedonanto Euroopan parlamentille ja neuvostolle. Hajautettujen virastojen henkilöstö- ja rahoitusresurssien ohjelmointi kaudelle 2014–2020, [http://ec.europa.eu/budget/library/biblio/documents/fin\\_fwk1420/COM\\_2013\\_519\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/budget/library/biblio/documents/fin_fwk1420/COM_2013_519_en.pdf)