



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

7 elokuu 2015  
EMA/372786/2015  
Apulaisjohtajan toimisto

## Vuoden 2015 työohjelman johdanto

Apulaisjohtaja Andreas Pott

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

Euroopan lääkkeiden sääntelyjärjestelmä perustuu verkostoon, joka 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, että toimintaympäristön suuntaukset, työmäärää koskevat ennusteet sekä monet tässä työohjelmassa kuvatut tavoitteet ja toimet vaikuttavat kansallisiin viranomaisiin ja niiden työskentelyyn yhtä lailla.

### **Toimintaympäristö**

Viraston työskentely-ympäristö muuttuu ja kehittyy jatkuvasti. Viraston työskentelyyn vaikuttavat mitä moninaisimmat tekijät, kuten edistyminen lääkkeiden kehityksessä ja sen lisääntyvä monimutkaisuus, sosiaalisen median roolin vahvistuminen tiedonlähteenä, avoimuuteen kohdistuvien odotusten kasvaminen, tärkeät lainsäädännölliset muutokset ja jatkuva pyrkimys toiminnan tehostamiseen.

Vuonna 2015 on kulunut 20 vuotta Euroopan lääkeviraston perustamisesta. Tänä vuonna alkaa lääkkeiden keskitetyn tunnustamisen lisäksi myös koko Euroopan lääkealan verkoston toiminta. Nyt on siis oivallinen mahdollisuus todeta, mitä kaikkea kuluneen 20 vuoden aikana on saavutettu kansanterveyden ja eläinten terveyden edistämisen saralla, ja suunnitella tulevaisuutta.

### **Lääkkeiden saatavuuden parantaminen tieteellisen kehityksen ja monimutkaisuuden hallinnan avulla**

Tällä hetkellä kehitetään yhä kohdennetumpia ja yksilöllisempiä lääkkeitä. Jatkuva kehitys sekä huipputason tiedon ja teknologioiden käyttö lääkkeiden kehityksessä sekä lääkkeiden kehityksen,



käytön ja terveydenhuollon laitteiden yhdistäminen vaikuttavat siihen, että tieteellinen neuvonta ja viraston muut toimet muuttuvat yhä monimutkaisemmiksi. Näiden kehityskulkujen tiivis seuranta ja tarvittavan asiantuntemuksen saatavuuden varmistaminen 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. Jotta voidaan varmistaa, että aiempaa useampi prospektiivinen lääke päätyy niitä tarvitsevien potilaiden saataville tällaisessa toimintaympäristössä, meidän on mukautettava ja yksinkertaistettava prosessejamme ja toimintatapojamme avoimemmiksi ja joustavammiksi, jotta ne ovat helpommin rahoittajien, etenkin pk-yritysten, käytettävissä.

Potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten odotukset siitä, että saatavilla olisi erilaisten sairauksien hoitoon tarkoitettuja lääkkeitä, kasvavat jatkuvasti. Lisäksi kehittyvät kansanterveydelliset uhat edellyttävät jatkuvasti joustavaa ja nopeaa reagointia. Tämä kaikki korostaa sitä, miten tärkeää on varmistaa, että markkinoilla on saatavilla lääkkeitä tieteellisen arvioinnin laadukkuudesta tinkimättä.

Näiden tieteellisten ja yhteisöllisten suuntausten vuoksi virasto vahvistaa kehitystukeaan erilaisille sidosryhmille. Se on käynnistänyt monia aloitteita, joilla varmistetaan lääkkeiden kehityksen edistämiseen tähtäävä varhainen vuoropuhelu ja parannetaan sääntelyjärjestelmää, jotta lääkkeet saataisiin markkinoille nykyistä nopeammin. Tähän kuuluu esimerkiksi integroitu tuki lääkkeen kehityksen alkuvaiheissa. Tämä koskee lakisääteistä tieteellistä neuvontaa, harvinaislääkkeiden nimeämistä, lapsipotilaita koskevia menettelyjä ja pk-yrityksille annettavaa tukea. Lisäksi virasto arvioi käytettävissä olevat sääntelytyökalut ja niiden käytön, jotta markkinoille saadaan lääkkeitä myös sellaisiin sairauksiin, joihin niitä ei ole kehitetty riittävästi. Virasto tutkii myös erilaisia toimintamalleja, kuten mukauttamisjärjestelmiä ja muita erityismekanismia, joilla voidaan tukea kansanterveydellisesti mahdollisesti erittäin tärkeiden innovatiivisten lääkkeiden kehitystä.

Pk-yritysten lisäksi myös tutkijoista sekä julkisten ja yksityisten toimijoiden välisistä kumppanuuksista on tulossa tärkeitä innovaation lähteitä lääkkeiden kehityksessä. Teollisuuden ja tutkijoiden tarve tehdä yhteistyötä sääntelyviranomaisten kanssa jo kehitystyön alkuvaiheissa kasvaa koko ajan. Siksi viraston rooli yhteistyön ja tiedonvaihdon mahdollistajana jo varhaisessa vaiheessa korostuu. Tämän vuoksi virasto lisää tukeaan myös näille sidosryhmille.

### **Toiminnan laadun ja tehokkuuden parantaminen**

Tehokkuus on keskeinen tekijä, jota viraston toimintojen onnistunut toteuttaminen sekä koko ajan lisääntyvistä vastuista ja alati monimutkaisemmiksi muuttuvista sääntelymenettelyistä selviäminen edellyttävät. Komiteoiden ja eri tieteenalojen kasvava keskinäisriippuvuus päätöksenteossa korostaa tarvetta yksinkertaistaa ja yhdistää prosesseja jatkuvasti, parantaa laadunvarmistusta ja -valvontaa sekä lisätä prosessien varmuutta ja tehostaa arviointimenettelyjä. Vuonna 2015 virasto käyttäi uusinta ohjelmaansa toimintojen tehokkuuden ja vaikuttavuuden lisäämiseksi. Tarkistetut ja parannetut prosessit ja työskentelytavat otetaan käyttöön koko organisaatiossa osana jatkuvaan parantamisvaiheeseen siirtymistä.

Lääkkeiden arviointimenettely kehittyy koko ajan. Tulevina vuosina kasvaa tarve ottaa huomioon esimerkiksi potilaiden arvojen ja mieltymysten kaltaisia seikkoja ja muiden sidosryhmien (kuten terveysteknologiaa arvioivien tahojen) tarpeet, kun suunnitellaan kliinisten tutkimusohjelmien ja myyntiluvan myöntämisen jälkeisiä toimenpiteitä ja punnitaan todelliseen elämään perustuvaa näyttöä koskevien tietojen vaikutuksia. Tämä vaikuttaa siihen, miten tieteelliset komiteat arvioivat lääkkeitä, ja sitä kautta myös viraston työmäärään. Tämä koskee sekä viraston pyrkimystä tukea komiteoiden tieteellistä työskentelyä että sen roolia tarjota koulutusta sekä teknistä ja metodologista ohjeistusta tieteelliseen työskentelyyn. Tämä kaikki edellyttää varmoja sisäisiä prosesseja ja verkoston kokonaisvalmiuksien lisäämistä.

Virasto ponnistelee jatkuvasti täyttääkseen toimintojen tehostamista koskevat vaatimukset ja lisätäkseen tarjoamiensa palvelujen laatua. Tiedonhallinnasta on tullut keskeinen toiminto, kun luodaan integroitua jaettua ympäristöä, josta on määrä muodostua yksittäinen tarkka ja yhtenäinen tiedonlähde virastolle sekä sen kumppaneille ja sidosryhmälle. Tällä saralla tietojen integrointiohjelman toteuttaminen on viraston keskeinen toimenpide.

### **Euroopan lääkealan sääntelyverkosto**

Euroopan lääkealan sääntelyverkosto (verkosto) on eurooppalaisen sääntelyjärjestelmän työn ja menestyksen kulmakivi. Virasto odottaa sen toimintojen lisääntyvän tulevina vuosina huomattavasti niin määrältään (esimerkiksi tieteellinen neuvonta ja lääketurvatoiminta) kuin tieteellisestä kehityksestä johtuvan tuotteiden, tieteellisten kysymysten ja menettelyjen monimutkaisuuden osalta. Lisääntyvän työ määrän vuoksi kansallisten toimivaltaisten viranomaisten on osallistuttava työskentelyyn aiempaa enemmän. Verkoston nykyinen kapasiteetti kuitenkin rajoittaa valmiuksia hallita lisääntyvää työ määrää. Siksi kestävien ratkaisujen löytäminen verkoston kapasiteetin ylläpitämiseksi ja lisäämiseksi on tärkeä painopisteala.

Tämän kehityksen vuoksi virasto jatkaa kansallisten toimivaltaisten viranomaisten kanssa tehtävän yhteistyön vahvistamista ja parantamista lukuisin tavoin. Niitä ovat esimerkiksi yhteistyössä kansallisten viranomaisten kanssa tehtävän koulutus- ja pätevyyden kehittämisohjelman uudistaminen, kansallisia asiantuntijoita koskevan ohjelman edistäminen ja sellaisten viraston tietotekniseen kehitysohjelmaan kuuluvien hankkeiden priorisointi, jotka tukevat kansallisten toimivaltaisten viranomaisten työskentelyä, tehokkuutta ja vaikuttavuutta.

Kansallisten toimivaltaisten viranomaisten ja viraston on myös valmisteltava tuleva maksulainsäädännön uudistus, jotta varmistetaan verkoston riittävä rahoitus ja kestävyys.

### **Globalisaatio**

Suuntaus, jonka mukaan lääkkeiden valmistuspaikkoja siirretään ja kliinisiä tutkimuksia tehdään yhä enemmän Euroopan unionin ulkopuolella, jatkuu. Tämän vuoksi on yhä tärkeämpää varmistaa, että EU:n ulkopuolella testatut ja valmistetut lääkkeet täyttävät EU:n vaatimukset, joten vahvistamme pyrkimyksiä kehittää ja lujittaa yhteistyötä kansainvälisten kumppaneiden kanssa yhteisten tarkastusten, tiedonvaihdon, valmiuksien lisäämisen ja keskinäisen luottamuksen parantamisen osalta. Lääkkeiden toimitusketjujen lisääntyvä monimutkaisuus ja globalisoituminen edellyttävät myös parempaa tiedonvaihtoa sekä tiiviimpää ja selkeämpää yhteistyötä viranomaisten välillä, jotta varmistetaan tuotteiden ja tietojen eheys sekä lääkkeiden toimitusketjun jatkuvuus.

Samaan aikaan on yhä selvempää, että on vältettävä sääntelyviranomaisten kaikkialla maailmassa tekemän työn päällekkäisyyttä, joten maailmanlaajuisia resursseja on käytettävä tehokkaammin. Tämän vuoksi virasto tukee myös ponnisteluja lisätä kansainvälistä yhteistyötä kaikilla aloilla. Se tukee myös kansainvälisten käytäntöjen ja kansainvälisissä yhteenliittymissä tehtävän työn lähentämistä, jotta maailmanlaajuisia sääntelyresursseja voidaan käyttää paremmin ja tehokkaammin.

### **Läketurvatoimintaa ja kliinisiä tutkimuksia koskeva lainsäädäntö**

EU:n läketurvatoimintaa koskevan lainsäädännön lopulliset osat pannaan täytäntöön vuosina 2015 ja 2016. Kun lainsäädäntö pannaan kokonaisuudessaan täytäntöön, viraston koordinoiva rooli kaikkien EU:ssa hyväksytyjen lääkkeiden valvonnassa, niiden hyväksyntätavasta riippumatta, vahvistuu. Sen myötä myös viraston vastuut läketurvatoiminnan alalla lisääntyvät. Osana tätä muutosta hallittavien tietojen ja tiedon määrä sekä toteutettavien menettelyjen lukumäärä kasvaa tulevina vuosina huomattavasti. Jotta virasto kykenee hallitsemaan tätä kaikkea ja parantamaan läketurvatoimintaa ja eurooppalaisten potilaiden turvallisuutta, se alkaa kehittää uusia tiedonlähteitä.

Toukokuussa 2014 julkaistussa kliinisiä lääketutkimuksia koskevassa asetuksessa virastolle määrättiin vastuu kehittää asetuksen toimeenpanemisessa tarvittavat järjestelmät. Tämän vuoksi EU:n kliinisen tutkimuksen portaalien ja tietokannan sekä muiden niihin liittyvien järjestelmien kehittäminen on yksi viraston keskeisistä painopistealueista tulevina vuosina.

### **Eläinlääkkeitä koskeva lainsäädäntö**

EU:n eläinlääkkeitä koskevan lainsäädännön uudistuksen odotetaan vaikuttavan viraston toimintoihin, kunhan lainsäädäntö hyväksytään. Uudistuksen tavoitteena on yksinkertaistaa sääntelyvaatimuksia huomattavasti ja samalla säilyttää ihmisten ja eläinten terveyden suojelun korkea taso. Neuvottelujen odotetaan jatkuvan vielä muutaman vuoden, ja lainsäädäntö on määrä hyväksyä vuonna 2016. Virasto jatkaa teknisen tuen antamista Euroopan komissiolle (jäljempänä "komissio") Euroopan parlamentin ja neuvoston kanssa käytävissä neuvotteluissa, joissa käsitellään ehdotusta eläinlääkkeitä koskevan lainsäädännön uudistamiseksi, mukaan luettuina innovatiivisten eläinlääkkeiden hyväksyntämenettelyjä koskevat muutokset, eläinlääkevalmisteiden myyntilupien ylläpidon yksinkertaistaminen, lääketurvatoiminta ja muut näkökohdat. Uudistetun lainsäädännön täytäntöönpanosta virastolle aiheutuvien muutosten suunnittelu aloitetaan vuonna 2015.

### **Mikrobilääkeresistenssi ja muut kansanterveydelliset uhat**

Mikrobilääkeresistenssi on alati kasvava ongelma niin ihmisten kuin eläintenkin kohdalla. Tilannetta pahentaa se, että muutaman viime vuoden aikana on hyväksytty vain vähän uusia mikrobilääkkeitä. Ongelman vakavuus on tunnustettu myös Maailman terveysjärjestön (WHO:n) laatimassa mikrobilääkeresistenssiä koskevassa maailmanlaajuisessa toimintasuunnitelmassa, jossa korostettiin, että mikrobilääkeresistenssi on yhtä tärkeä maailmanlaajuinen terveyskriisi kuin tartuntatautien aiheuttamat pandemiat.

Koska virasto sääntelee sekä ihmisille että eläimille tarkoitettuja lääkkeitä, sillä on hyvä mahdollisuus toteuttaa "Yksi terveys" -mallia ja seurata sen soveltamista mikrobilääkeresistenssin torjunnassa sekä sen oman työn osalta että eurooppalaisten ja kansainvälisten yhteistyökumppaneiden kanssa tehtävän yhteistyön osalta. Virasto jatkaa yhteistyötään EU:n ja kansainvälisten kumppaneidensa kanssa useissa aloitteissa, joiden tavoitteena on rajoittaa mikrobilääkeresistenssin kehittymistä. Osana tätä työtä virasto jatkaa osallistumistaan mikrobilääkeresistenssiä käsittelevän transatlanttisen erityisyöryhmän (TATFARin) työskentelyyn, jonka tavoitteena on parantaa EU:n ja Yhdysvaltojen välistä viestintää, koordinoitua ja yhteistyötä ihmisille ja eläimille tarkoitettujen mikrobilääkkeiden osalta. Lisäksi virasto jatkaa eurooppalaisen eläinten mikrobilääkkeiden käytön seurantajärjestelmän (ESVACin) toimeenpanoa. Järjestelmässä kerätään tietoa siitä, miten mikrobilääkkeitä käytetään eläinten hoidossa EU:ssa. Tämä lisää ymmärrystä siitä, mitkä ovat ne riskitekijät, joiden vuoksi mikrobilääkeresistenssi kehittyy ja leviää.

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

### **Avoimuus**

Euroopan lääkevirasto tehostaa ponnistelujaan jakaa tietämystä ja tietoa kansallisten toimivaltaisten viranomaisten, potilaiden, terveydenhuollon ammattilaisten, median ja muiden sidosryhmien kanssa. Tiedon kysynnän oletetaan lisääntyvän, ja siksi viraston keskeisestä koordinoivasta roolista sekä tietojen integroinnin parantamisesta tulee yhä tärkeämpiä seikkoja. Sidosryhmiltä tulevat pyynnöt koskevat paitsi tietojen saatavuutta myös yhä useammin näiden tietojen tulkintaa ja analysointia. Tämä tarkoittaa, että tarve hallita ja jakaa luotettavaa tietoa lisääntyy etenkin, kun pyritään tukemaan näyttöön perustuvaa päätöksentekoa tieteellisen tiedon pohjalta, parantamaan lääkkeiden asianmukaista käyttöä ja täyttämään avoimuuden lisäämistä koskevat vaatimukset.

Päätöksentekomenettelyn avoimuus lääkkeiden koko elinkaaren ajan on edelleen keskeinen tekijä. Potilaat, kuluttajat ja terveydenhuollon ammattilaiset pyytävät päätöksenteon tueksi enemmän ja parempaa tietoa, ja ne edellyttävät myös suurta avoimuutta lääketeollisuudelta ja sääntelyviranomaisilta. 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. Tämä vaikuttaa suuren yleisön luottamukseen viraston työskentelyä kohtaan.

Kliinisten tietojen saatavuutta koskevien periaatteiden toteuttaminen on myös yksi tärkeä näkökohta viraston avoimuutta koskevissa aloitteissa.

### **Tietotekniikka ja sosiaalinen media**

Potilaat ja terveydenhuollon ammattilaiset käyttävät yhä enemmän internetiä, mobiililaitteita ja sosiaalista mediaa etsiessään lääkkeisiin liittyvää tietoa. Näiden viestintäkanavien laajempi käyttäminen on siis tärkeää, jotta varmistetaan, että virallista, luotettavaa ja ymmärrettävää tietoa on saatavilla helposti, yhdenmukaisesti ja oikea-aikaisesti.

Se, että kuluttajat ja terveydenhuollon ammattilaiset käyttävät terveyteen liittyvissä asioissa koko ajan enemmän tietotekniikkaa, sähköisiä potilasasiakirjoja ja tietokantoja, mobiililaitteita ja sosiaalista mediaa, edellyttää, että myös valvontamenetelmiä aletaan kehittää.

### **Painopistealueet:**

Edellä mainittujen seikkojen ja muiden toimintaympäristöön vaikuttavien tekijöiden perusteella virasto on asettanut vuodelle 2015 seuraavat painopistealueet:

- Laadukkaiden, tehokkaiden ja yhdenmukaisten toimintojen toteuttaminen sekä ihmisille että eläimille tarkoitettujen lääkkeiden alalla.
- Lääkkeiden varhaisvaiheen kehittämisen mahdollistaminen sekä ihmisille että eläimille tarkoitettujen lääkkeiden alalla.
- Yhteistyön parantaminen verkoston sekä muiden eurooppalaisten ja kansainvälisten kumppaneiden kanssa.
- Lääketurvatoimintaa ja kliinisiä tutkimuksia koskevan lainsäädännön täytäntöönpaneminen.
- Teknisen tuen antaminen Euroopan komissiolle yhteispäätösmenettelyssä, joka koskee ehdotusta Euroopan parlamentin ja neuvoston eläinlääkkeitä koskevan asetuksen uudistamiseksi.
- Tehokkaan kriisinhallinnan ja kansanterveydellisiin uhkiin reagoimisen, mikrobilääkeresistenssin torjumisen ja infektio lääkkeiden saatavuuden varmistaminen.
- Avoimuuden lisäämisen jatkaminen sekä sidosryhmä- ja viestintästrategioiden toteuttaminen.
- Viraston hallussa olevien tietojen laadun, eheyden ja saatavuuden parantaminen.