



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH



# A laboratóriumtól a betegig: az EMA által értékelt gyógyszerek útja

An agency of the European Union



# A laboratóriumtól a betegig: az EMA által értékelt gyógyszerek útja



Ez a broszúra azokról az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekről szól, amelyeket az Európai Gyógyszerügynökségen (EMA) keresztül, az uniós [központosított eljárás](#) keretében engedélyeztek. Nem érinti azonban azokat a gyógyszereket, amelyeket nemzeti eljárásokon keresztül (beleértve a decentralizált eljárást és a kölcsönös elismerési eljárást is) a nemzeti gyógyszerhatóságok engedélyeztek az uniós tagállamokban.

# 01

## Kutatás és fejlesztés

### Ki végzi a gyógyszerekkel kapcsolatos kezdeti kutatást?

**Évente több tízezer vegyületet vizsgálnak meg a gyógyszerészeti és biotechnológiai vállalatok, valamint az orvosok és tudósok, hogy felhasználhatók-e betegségek kezelésére. Ezek csupán kis számban elég ígéretesek ahhoz, hogy betegeken teszteljék őket, és csak töredékük rendelkezik elég jó vizsgálati eredményekkel ahhoz, hogy forgalomba hozzák.**

A gyógyszerek kezdeti kutatását általában gyógyszerészeti vagy biotechnológiai vállalatok végzik – egyes nagy vállalatok több gyógyszert fejlesztenek, míg mások kis vállalatok, amelyek csupán egy vagy két vegyületet tanulmányoznak.

Az orvosok és tudósok szintén végeznek kutatásokat, és együttműködhetnek új gyógyszereknek vagy régi gyógyszerek új alkalmazásainak a kutatásában.



#### Tudta?

*Az innovatív kezelések fejlesztői az [innovációs munkacsoporton](#) keresztül a fejlesztés korai szakaszában megvitathatják az EMA-val a gyógyszerük tudományos, jogi és szabályzási szempontjait.*

*[2018-ban](#) a 22 korai megbeszélésre irányuló kérés közül 9 egyetemi vagy tudományos csoportoktól érkezett.*

Az ilyen kutatók, dolgoznak akár közfinanszírozott intézményekben, akár magánvállalatoknál, óriási számú vegyületet vizsgálnak meg minden évben, hogy felhasználhatók-e gyógyszerként. Azonban a tesztelt vegyületeknek csupán kis része lesz eléggé ígéretes ahhoz, hogy továbbfejlesszék.

### Hogyan tesztelik a lehetséges új gyógyszereket?

**A lehetséges új gyógyszereket előbb laboratóriumban, majd önkéntes emberek körében, úgynevezett [klinikai vizsgálatokban](#) vizsgálják. Ezek a vizsgálatok segítenek megérteni a gyógyszer hatásmechanizmusát és értékelni annak előnyeit és mellékhatásait.**

A lehetséges új gyógyszereket előbb laboratóriumban, majd önkéntes emberek körében, úgynevezett [klinikai vizsgálatokban](#) vizsgálják. Ezek a vizsgálatok segítenek megérteni a gyógyszer hatásmechanizmusát és értékelni annak előnyeit és mellékhatásait.

Azoknak a gyógyszerfejlesztőknek, akik az EU-ban klinikai vizsgálatot szeretnének végezni, kérelmet kell benyújtaniuk azon országok illetékes nemzeti hatóságaihoz, amelyekben el szeretnék végezni a vizsgálatokat.

Az EMA-nak nincs szerepe az EU-ban végzett klinikai vizsgálatok engedélyezésében: ez az illetékes nemzeti hatóságok felelőssége.

Ugyanakkor az EMA az uniós tagállamokkal együttműködésben kulcsszerepet játszik annak biztosításában, hogy a gyógyszerfejlesztők kövessék az uniós és nemzetközi szabványokat. Függetlenül attól, hogy ezeket a vizsgálatokat az EU-n belül vagy azon kívül végzik, egy gyógyszer EU-n belüli forgalomba hozatala engedélyezésének alátámasztása céljából vizsgálatot folytató fejlesztőknek szigorú szabályoknak kell megfelelniük. Ezek a szabályok ([helyes klinikai gyakorlat](#)) a vizsgálatok elrendezésének módjára, az eredmények rögzítésének mikéntjére és ezen eredmények jelentésének módjára vonatkoznak. Ezek a szabályok azt hivatottak biztosítani, hogy a vizsgálatok tudományosan megalapozottak legyenek és etikus módon végezzék őket.

Az uniós jogszabályok biztosítanak továbbá egy kötelezettségekből, jutalmakból és ösztönzőkből álló rendszert, hogy a gyártókat [gyermekeknél alkalmazható gyógyszerek](#) kutatására és fejlesztésére ösztönözzék.

## Befolyásolhatja az EMA, hogy melyik gyógyszert fejlesszék?

**Az EMA nem kényszerítheti a vállalatokat, hogy egy adott gyógyszert kutassanak egy bizonyos betegség ellen. Ugyanakkor az EMA nyilvánosságra hoz olyan területeket, amelyeken új gyógyszerekre van szükség, hogy így ösztönözze az érdekelt feleket azok kutatására.**

Az EMA nem szponzorálhatja a gyógyszereket és nem finanszírozhatja egy adott gyógyszer kutatásait, továbbá nem kényszerítheti a vállalatokat, hogy bizonyos gyógyszereket vagy kezeléseket tanulmányozzanak egy adott betegség ellen. Gyógyszerszabályozó hatóságként az EMA-nak semlegesnek kell lennie, és nem lehet pénzügyi vagy egyéb érdekeltsége egy fejlesztés alatt álló gyógyszerrel kapcsolatban sem.

Azonban közzé tehet és közzé is tesz olyan területeket, amelyeken új gyógyszerekre – például új antibiotikumokra – van szükség, hogy ösztönözze az érdekelt feleket azok kutatására. Ezenfelül az uniós jogszabályok olyan intézkedéseket tartalmaznak, amelyek arra ösztönzik a vállalatokat, hogy fejlesszenek [ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszereket](#). Ide tartozik például a díjcsökkentés, ha tudományos tanácsadást kérnek az EMA-tól.

# 02

## Tudományos tanácsadás



### Mit jelent a tudományos tanácsadás?

Egy gyógyszer engedélyezéséhez a gyógyszer fejlesztőjének bizonyítania kell, hogy a gyógyszer hatásos, biztonságos és jó minőségű.

A gyógyszer fejlesztése során a fejlesztő útmutatást kérhet az EMA-tól a legjobb módszerekkel és vizsgálati elrendezésekkel kapcsolatban annak érdekében, hogy megbízható információkat nyerhessen arról, mennyire működik jól és mennyire biztonságos a gyógyszer. Ezt nevezik tudományos tanácsadásnak.

Ezt követően a forgalombahozatali engedély iránti kérelemben a fejlesztő benyújtja az EMA-nak a gyógyszer vonatkozásában generált összes adatot. Az Ügynökség megvizsgálja ezeket az információkat és megállapítja, hogy a gyógyszer biztonságos-e és előnyös-e a betegek számára.

#### Tudományos tanácsadás:

- ▶ nem a gyógyszer előnyeinek és kockázatainak előzetes értékelése
- ▶ nem garantálja a gyógyszer forgalomba hozatalának engedélyezését

### Miért biztosít az EMA tudományos tanácsadást?

**Az EMA azért biztosít tudományos tanácsadást, hogy a betegek érdekében támogassa a jó minőségű, hatásos és biztonságos gyógyszerek időben történő és megalapozott fejlesztését.**

Az EMA azért biztosít tudományos tanácsadást, mert:

- ▶ A megfelelőbb elrendezésű vizsgálatokból nagyobb valószínűséggel nyernek megbízható és teljes körű adatokat annak igazolására, hogy a gyógyszer hatásos és biztonságos-e vagy sem. Minél hamarabb mutatható ki, hogy egy új gyógyszer hatásos és biztonságos, annál hamarabb lehet elérhető a betegek számára.
- ▶ A tanácsadás azt jelenti, hogy a betegeket nem fosztják meg az előnyös hatású gyógyszerektől csupán azért, mert a rosszul kialakított vizsgálatoknak nem sikerült alátámasztaniuk, hogy a gyógyszer hatásos és biztonságos.



#### Tudta?

Egy 2015-ben végzett elemzés alapján [három tudományos tanácsadásra benyújtott fejlesztési program közül kettőt](#) nem tartottak megfelelőnek a gyógyszer előnyeinek és kockázatainak későbbi értékeléséhez. A tudományos tanácsadás után ezen vizsgálatok 63%-át módosították, hogy megfelelőbb módon értékelhessék a gyógyszer hatásosságát, illetve megfelelőbb összehasonlító készítményt válasszanak.

- ▶ A megfelelőbb vizsgálati elrendezéssel kiküszöbölhető, hogy a betegek olyan vizsgálatokban vegyenek részt, amelyekből nem származnak használható bizonyítékok.
- ▶ A hatékonyabb fejlesztés azt jelenti, hogy a korlátozottan rendelkezésre álló tudományos forrásokat a legmegfelelőbb módon használják fel a betegek érdekében.

A tudományos tanácsadás különösen hasznos azon gyógyszerfejlesztők számára, amelyek korlátozott tudással bírnak a gyógyszerek szabályzásáról, mint például néhány tudományos csoport, illetve a mikro-, kis- és középvállalkozások (kkv-k). A tudományos tanácsadás releváns az innovatív terápiaik esetében is, amelyek vonatkozásában még nem dolgoztak ki tudományos útmutatást vagy a rendelkezésre álló tudományos útmutatás korlátozott.



### Tudta?

*Az olyan betegségek kezelésére irányuló gyógyszerek esetében, amelyekre nem léteznek kielégítő kezelések és amelyek ígéretes kezdeti eredményeket mutattak, az EMA a **PRIME** (kiemelt jelentőségű gyógyszerek) elnevezésű kezdeményezés révén további szabályozói támogatást biztosít, beleértve a kulcsfontosságú fejlesztési mérföldköveknél biztosított tudományos tanácsadást.*

## Miért biztosítanak tudományos tanácsadást a gyógyszer szabályozók?

A gyógyszer szabályozók egyedülálló ismeretekkel és tapasztalattal rendelkeznek a gyógyszereket kifejlesztésének módjáról, amelyet a gyógyszerek értékelésével töltött évek során nyertek. Kötelességük ezt a tudást megosztani és elősegíteni a hatékonyabb gyógyszerfejlesztést a betegek érdekében.

## Biztosít az EMA tanácsadást bármilyen más módon?

**Igen. Az EMA tudományos iránymutatásokat dolgoz ki, amelyekkel tanácsot ad a gyógyszerfejlesztőknek gyógyszereik tanulmányozásának legjobb módjáról; ugyanakkor ezek nyilvánvalóan általános helyzetekkel foglalkoznak és nem foglalják magukban a nem standard, innovatív megközelítéseket, hiszen azok fejlesztés alatt állnak. A tudományos tanácsadás ezért a meglévő iránymutatásokat egészíti ki és azokra épül, de mindig az adott esetre szabott, és esetleg felhasználható az iránymutatások frissítésére vagy új iránymutatások kidolgozására.**

Az iránymutatások általános tanácsokkal szolgálnak a legjobb módszerekkel és vizsgálati elrendezésekkel kapcsolatban, amelyeket bizonyos típusú gyógyszerek, például a vakcinák, az antibiotikumok, illetve bizonyos betegségek, például a daganatok elleni gyógyszerek fejlesztésénél kell alkalmazni. Ugyanakkor az iránymutatások csupán általános helyzetekkel foglalkoznak, és nem fedik le a jövőbeni új és innovatív megközelítéseket. Emellett kidolgozásuk időt vesz igénybe.

Ezért az iránymutatások kiegészítéseként a tudományos tanácsadás biztosítása kérésre, az egyes gyógyszerek fejlesztésének vonatkozásában történik. A tanácsadás a meglévő iránymutatásokra épít, azonban az adott gyógyszerre és a kezelni kívánt betegcsoportra szabott.

Az iránymutatások kidolgozásánál és frissítésénél viszont a tudományos tanácsadás és a gyógyszerek, különösen innovatív gyógyszerek értékelése során szerzett ismereteket és tapasztalatokat építik be. Ha például több friss tudományos tanácsadás iránti kérelemben is új végpontot javasolnak, a vonatkozó iránymutatásokat felülvizsgálják és az az új végpontra vonatkozó hivatkozásokkal egészítik ki. Ilyen módon a tudományos tanácsadás során nyert ismereteket megosztják a szélesebb körű tudományos közösséggel.

## Hogyan kell fizetni a tudományos tanácsadásért?

A kérelmezők adminisztratív díjat fizetnek a tudományos tanácsadásért. Az EMA általi tudományos tanácsadást uniós jogszabályok írják elő, amelyek meghatározzák a kérelmező által megfizetendő adminisztratív díjakat is.

Bizonyos típusú gyógyszerek és kérelmezők esetén kedvezmény vehető igénybe: 75%-os díjcsökkentés érvényes a ritka betegségek kezelésére szánt gyógyszerekre („orphan medicine”), továbbá 90%-os díjcsökkentés vonatkozik a mikro-, kis- és középvállalkozásokra (mkkv-k).



### Tudta?

*2018-ban a 634 befejezett tudományos tanácsadás egyharmadát kkv-k számára, egynegyedét pedig ritka betegségek kezelésére szánt gyógyszerek vonatkozásában nyújtották. A díjcsökkentésnek köszönhetően a kkv-k, amelyek nagy számú innovatív gyógyszer létrehozói, gyógyszereik fejlesztése során részesülhetnek tudományos tanácsadásban.*

## Mi történik a tudományos tanácsadás során?

**A tudományos tanácsadás során a szakemberek válaszolnak az adott gyógyszer fejlesztésével kapcsolatban feltett, tudományos kérdésekre.**

A gyógyszer fejlesztője bemutatja a gyógyszer fejlesztésének módjára vonatkozó tervét, valamint azonosítja a problémákat és azok lehetséges megoldásait. Ezután az EMA tanácsot ad a fejlesztő javaslatával kapcsolatban. A tudományos tanácsadás során az EMA nem értékeli a vizsgálatok eredményeit és semmiképpen sem dönt arról, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják-e a kockázatokat.

A tudományos tanácsadás során az alábbiakkal kapcsolatban lehet kérdést feltenni:

- ▶ minőségi szempontok (a gyógyszer gyártása, kémiai, gyógyszerészeti és biológiai tesztelése),
- ▶ nem-klinikai szempontok (toxikológiai és farmakológiai tesztek, amelyeket a laboratóriumban a gyógyszer hatásának igazolására alakítottak ki),
- ▶ klinikai szempontok (a betegeknél vagy egészséges önkénteseknél végzett vizsgálatok megfelelősége, a végpontok kiválasztása, vagyis hogyan lehet a legjobban mérni a hatásokat egy vizsgálatban, forgalomba hozatal utáni tevékenységek, beleértve a kockázatkezelési tervet),
- ▶ módszertani problémák (használandó statisztikai tesztek, adatelemzés, modellezés és szimuláció).

## Példák a tudományos tanácsadás során feltett kérdésekre:

- ▶ A vizsgálatba bevonni kívánt betegek kellőképpen reprezentálják-e azt a populációt, amelynek a gyógyszert szánták?
- ▶ Érvényesek és relevánsak-e a gyógyszer előnyeinek értékelésére tervezett mérőszámok?
- ▶ Megfelelő-e az eredmények elemzésére javasolt terv?
- ▶ Elég hosszú ideig tart-e a vizsgálat és elég beteg vesz-e benne részt ahhoz, hogy biztosítsa az előny-kockázat értékeléshez szükséges adatokat?
- ▶ A gyógyszert megfelelő alternatívával hasonlítják-e össze?
- ▶ Megfelelően lett-e kialakítva a gyógyszer hosszú távú biztonságának nyomonkövetési terve?

## Ki vesz részt a tudományos tanácsadásban?

### A feltett kérdésekre különböző szakterületek szakértőinek tucatjai válaszolnak.

Az EMA-n belül az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) felelős a forgalombahozatali engedély iránti kérelmek vizsgálatáért. Fő feladatai közé tartozik a kutatás és fejlesztés támogatása is, amelyet a tudományos tanácsadáson keresztül biztosít. Ezt a feladatot a CHMP az EMA tudományos tanácsadói munkacsoportjának (SAWP) adja át. A fejlesztők által feltett kérdésekre adott válaszokat az SAWP dolgozza ki, a végleges tanácsadást pedig a CHMP fogadja el hivatalosan és adja ki.

Az SAWP legfeljebb 36 tagból áll, akik az uniós gyógyszer szabályozás, az egyetemek és az EMA ritka betegségek gyógyszereivel, fejlett terápiákkal, gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerekkel, farmakovigilanciával és kockázatértékeléssel foglalkozó bizottságainak szakemberei. A tagok hozzávetőleg ötöde egyúttal CHMP-tag is. Ez az átfedés lehetővé teszi, hogy a tudományos tanácsadás során egy gyógyszerrel kapcsolatban gyűjtött, hosszabb távú ismereteket és tapasztalatot felhasználják a forgalombahozatali engedély iránti kérelem CHMP általi, későbbi értékeléséhez.

Az SAWP tagjainak szakterületei közé tartozik a nem-klinikai biztonságosság, a farmakokinetika, a módszertan és a statisztika, a gén- és sejttérápia, valamint azok a terápiás területek, amelyekkel kapcsolatban gyakran kérnek tanácsot, mint például a kardiológia, az onkológia, a cukorbetegség, a neurodegeneratív betegségek és a fertőző betegségek.

## Betegek vesznek részt tudományos tanácsadásban?

Betegek gyakran vesznek részt tudományos tanácsadásban. Azért hívják meg őket, hogy megosszák a betegségükre alkalmazott gyógyszerre vonatkozó valós életbeli szempontjaikat és tapasztalataikat. Ez segíthet a gyógyszerfejlesztőknek és a szabályozóknak jobban megérteni, hogy az adott betegcsoport számára mi működik és ők mit tartanak fontosnak.

Az SWAP további külső szakértőkkel is konzultálhat, szélesítve azon szakemberek körét, akiknek véleményét kikérheti.



### Tudta?

*2018-ban minden ötödik tudományos tanácsadásban részt vettek betegek is, és az SAWP tagjai úgy ítélték meg, hogy csaknem minden esetben (az esetek kb. 90%-ában) a betegek részvétele többletértéket képviselt a tudományos tanácsadásnál. A tudományos tanácsadás hozzávetőleg minden negyedik esetben javasolta a fejlesztési tervnek a betegek tanácsát tükröződő módosítását.*



## Befolyásolja a tudományos tanácsadás nyújtása a gyógyszer EMA általi értékelését?

**A tudományos tanácsadás és a gyógyszer előnyeinek és kockázatainak értékelése természetükből adódóan eltérők: míg a tudományos tanácsadás során azt vizsgálják, hogyan kellene a gyógyszert tanulmányozni ahhoz, hogy megbízható bizonyítékokat lehessen nyerni, a forgalomba hozatal engedélyezésének mérlegelésekor végzett értékelés – függetlenül a korábban adott tanácsoktól – a vizsgálatokból származó, tényleges bizonyítékokat vizsgálja annak megállapítására, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják-e a kockázatokat.**

A tudományos tanácsadás során felmerült kérdések és egy gyógyszer értékelése során felvetett problémák alapvetően különböznek: a tudományos tanácsadás a gyógyszer tesztelésének és vizsgálatának legmegfelelőbb módjával kapcsolatos kérdésekkel foglalkozik, míg a gyógyszer értékelése során a CHMP e vizsgálatok eredményét tanulmányozza, és ez alapján állapítja meg, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják-e annak kockázatait és így engedélyezhető-e betegeknél történő alkalmazásra.

A tudományos tanácsadás célja, hogy egyszerűbbé és gyorsabbá tegye a gyógyszer értékelését, mivel a generálandó bizonyítékok valószínűleg megbízhatóbbak, megfelelőbbek és teljesebbek lesznek. A tanácsadás nem befolyásolja azonban a biztonságosság és hatásosság szabályozó általi, szigorú értékelését, és nem jelenti azt sem, hogy a gyógyszer értékelése automatikusan sikerrel végződik. A megfelelőbb bizonyítékok azt jelentik, hogy könnyebben lehet következtetést levonni az előny-kockázat profilra vonatkozóan, azonban nem feltétlenül jelenti azt, hogy a gyógyszert engedélyezik – egyértelműbben mutathatja, hogy a gyógyszer káros vagy nem hatásos. Azok a gyógyszerfejlesztők, akik megfogadták a tudományos tanácsokat, ezért nem feltétlenül kapnak forgalombahozatali engedélyt.



### Tudta?

*A tudományos tanácsadásban foglaltak betartása növeli a forgalombahozatali engedély megadásának esélyét, de nem garantálja azt. Egy 2015-ben végzett elemzés azt mutatta, hogy az EMA által adott tudományos tanácsokat betartó [vállalatok 15%-a](#) negatív véleményt kapott a forgalombahozatali engedély iránti kérelem benyújtásakor. Ez az arány az összes kérelem vonatkozásában 25% volt.*

Ezzel szemben azok a gyógyszerfejlesztők, akik nem fogadták meg a tanácsokat, még mindig kaphatnak forgalombahozatali engedélyt.

Míg ezen eljárások hatálya eltérő, a gyógyszerrel kapcsolatban a tudományos tanácsadás során nyert, hosszabb távú ismeretek és szakértelem segítenek a gyógyszer jobb megértésében, és hasznosak lesznek a forgalombahozatali engedély iránti kérelem értékelése során.

Mindkét eljárásban testületileg születnek meg a döntések, és azok átfogó megbeszéléseken és konzultációkon alapulnak. Egyetlen SAWP- vagy CHMP-tag sem kényszerítheti ki, hogy egy döntés egy bizonyos irányba mutasson – többségi döntésnek kell születnie.

## Mit tesz közzé az EMA a tudományos tanácsadások eredményeivel kapcsolatban?

A fejlesztési és értékelési fázisok során a vállalatnak adott, részletes tanácsokat nem hozzák nyilvánosságra. Ennek az az oka, hogy ebben a stádiumban az információk közzététele alááshatja a kutatási és fejlesztési erőfeszítéseket, így pedig meggátolhatják az új gyógyszerek kutatását.

Ugyanakkor, amint a gyógyszer megkapta a forgalombahozatali engedélyt, az információkat elérhetővé teszik.

2018 júniusában az EMA elkezdett részletesebb információkat közölni a gyógyszerfejlesztés során nyújtott tudományos tanácsadásról az olyan gyógyszerek értékelő jelentéseiben, amelyek EMA PRIME támogatásban részesültek (vagyis az olyan betegségek kezelésére irányuló gyógyszerek, amelyekre nem léteznek kielégítő kezelések és amelyek ígéretes kezdeti eredményeket mutattak), és ezt a kezdeményezést kiterjesztették minden gyógyszerre, amelynek az értékelő jelentését 2019. január 1. után véglegesítették.

Nevezetesen, az értékelő jelentés elején szerepel a fejlesztő kérdéseinek összefoglalása, a nyújtott tanács kulcselemei pedig megtalálhatók a jelentés vonatkozó fejezeteiben. Emellett információk találhatók benne azzal kapcsolatban is, hogy a vállalat megfogadta-e ezt a tanácsot.

Amint az Európai Bizottság végleges határozatot hozott a forgalombahozatali engedélyről, a gyógyszerek értékelő jelentései megjelennek az EMA honlapján.

Ezen felül kérésre elérhetővé tehető a teljes tanácsadás.

A tudományos tanácsadás egyike az EMA gyógyszerfejlesztéssel kapcsolatos tudományos iránymutatásainak frissítéséhez használt forrásoknak. A betegség-specifikus iránymutatásokat rendszeresen frissítik, és kiegészítik a tudományos tanácsadás és a gyógyszerek értékelése során nyert ismeretekkel és tapasztalatokkal. Ilyen módon mindenki számára elérhetővé válik a tudományos tanácsadás eredménye.

## Milyen intézkedésekkel biztosítják, hogy a szakértők a tudományos tanácsadás során függetlenül járjanak el?

**A tudományos tanácsadásba történő bevonást megelőzően az EMA minden szakértőnek ellenőrzi az érdekeltségi nyilatkozatát, és korlátozásokat alkalmaz, amennyiben valamely érdekeltségről úgy véli, hogy potenciálisan befolyásolhatja a pártatlanságot.**

Az EMA [az érdekkonfliktusok kezelésére vonatkozó politikát](#) vezetett be, hogy korlátozza azon tagok, szakértők és munkatársak részvételét, akik esetében az Ügynökség munkáját illetően érdekkonfliktus állhat fenn, egyúttal fenntartva annak lehetőségét, hogy rendelkezésére álljon a legjobb elérhető szakértelem.

Az SAWP tagjai és minden más részt vevő szakértő érdekeltségi nyilatkozatot ad be, mielőtt bármilyen EMA tevékenységben részt venne.

Az Ügynökség minden egyes érdekeltségi nyilatkozathoz egy kockázati szintet rendel az alapján, hogy a szakértőnek van-e olyan közvetlen vagy közvetett érdekeltsége (finansziális vagy egyéb), amely befolyásolhatná pártatlanságát. Egy új tudományos tanácsadási eljárás megkezdése előtt az EMA minden tag vagy szakértő érdekeltségi nyilatkozatát ellenőrzi, és amennyiben érdekkonfliktust azonosít, korlátozza a tag vagy szakértő jogait.

A korlátozások közé tartozik a kizárás egy bizonyos téma megvitatásában való részvételből vagy a témával kapcsolatos szavazásból.

## Tudományos tanácsadás - az eljárás részletei

Két szakértő végez külön-külön értékelést független csapatok támogatásával, valamint további szakértők és érdekelt felek gyakori bevonása mellett.

- 01** Annak a gyógyszerfejlesztőnek, aki tudományos tanácsadást kíván kérni, először értesítenie kell az EMA-t, és tájékoztató dokumentumot kell küldenie számára. Sor kerülhet találkozóra, különösen az első alkalommal kért tudományos tanácsadás, illetve komplex gyógyszerek esetén.
- 02** A fejlesztő ezután beküld egy a konkrét tudományos kérdéseket és javasolt válaszokat tartalmazó listát. Az EMA megállapítja, hogy a kérdések érvényesek-e a tudományos tanácsadás céljára.
- 03** Minden egyes jóváhagyott tudományos tanácsadási eljárás (vagy vizsgálati terv elkészítésének támogatása ritka betegségek gyógyszereinél) esetén az SAWP két olyan tagját jelölik ki koordinátorként, akik megbízható szakértelemmel rendelkeznek a tudományos kérdések megválaszolásában.
- 04** Mindegyik koordinátor létrehoz egy értékelő csapatot, értékelőket invitálva a nemzeti ügynökségükből vagy más uniós ügynökségekből. Mindegyik csapat jelentést készít, amely megválaszolja a tudományos kérdéseket; felvázolja az SAWP többi tagjával történő megbeszélésre szánt problémák listáját, és további dokumentumokat vagy pontosításokat kérhet a kérelmezőtől.
- 05** Amennyiben az SAWP konkrét kérdéseket kíván megbeszélni a gyógyszerfejlesztővel, találkozót szervez, különösen akkor, ha nem ért egyet a javasolt tervvel és alternatív fejlesztési tervet javasol.
- 06** Az SAWP konzultál a releváns EMA bizottsággal [például az EMA fejlett terápiákkal foglalkozó bizottságával (CAT) vagy az EMA ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottságával (COMP)] és tudományos munkacsoportjaival. Az SAWP további külső szakértőkkel is konzultálhat, szélesítve azon szakemberek körét, akiknek véleményét kikérheti.
- 07** Gyakran konzultálnak betegekkkel is. Amennyiben a EMA úgy dönt, hogy írásban válaszol a gyógyszerfejlesztőnek, megkéri a betegeket, hogy tegyenek észrevételeket; amennyiben az EMA úgy dönt, hogy találkozik a gyógyszerfejlesztővel, a találkozóra meghívják a betegeket is.
- 08** Az SAWP konszolidálja a tudományos kérdésekre adott válaszokat. A végleges tanácsot a CHMP megvitatja és elfogadja, majd megküldi a gyógyszerfejlesztőnek.

# 03

## Értékelés

### Mi történik, mielőtt megkezdődik egy gyógyszer értékelése?

**Néhány hónappal az értékelés megkezdése előtt az EMA iránymutatást ad a gyógyszerfejlesztő számára a szükségtelen késelem elkerülése és annak érdekében, hogy a forgalombahozatali engedély iránti kérelme megfeleljen a jogi és szabályozói előírásoknak.**

A forgalombahozatali engedély megszerzéséhez a gyógyszerfejlesztőknek specifikus adatokat kell benyújtaniuk a gyógyszerükkel kapcsolatban. Az EMA ezután elvégzi ezen adatok alapos értékelését annak eldöntésére, hogy a gyógyszer biztonságos, hatásos és jó minőségű-e, és így alkalmas-e a betegeknek történő alkalmazásra.

Az EMA [iránymutatással](#) látja el a vállalatokat azzal kapcsolatban, hogy milyen típusú információkat kell tartalmaznia a forgalombahozatali engedély iránti kérelemnek.

Körülbelül 6-7 hónappal a kérelem benyújtása előtt a gyógyszerfejlesztők találkozhatnak az EMA-val annak biztosítása végett, hogy kérelmük megfeleljen a jogi és szabályozói előírásoknak. Ez azt jelenti, hogy a kérelem tartalmaz minden olyan különböző szempontot, amelyet az [uniós jogszabályok](#) előírnak, és amelyek szükségesek annak bizonyítására, hogy a gyógyszer a kívánalmaknak megfelelően fejti ki hatását.

Ezeken a találkozókön számos EMA munkatárs vesz részt, akik különböző területekért, például a minőségért, a biztonságosságért és hatásosságért, a kockázatkezelésért vagy gyermekgyógyászati szempontokért felelősek, és akik végigkövetik a kérelem értékelését.

Az EMA arra ösztönzi a fejlesztőket, hogy a benyújtás előtt kérjenek ilyen találkozókot, mivel azok célja a kérelmek minőségének javítása és a szükségtelen késelemek elkerülése.

### *Ki viseli a gyógyszerértékelés költségeit?*

Az európai jogszabályok előírják, hogy a gyógyszeripari vállalatok hozzájárulnak a gyógyszerek szabályozásának költségeihez. Mivel a vállalatok a gyógyszerek forgalmazásából jövedelemre tesznek szert, úgy korrekt, ha ők viselik a szabályozás költségeinek nagyobb részét. Ez azt jelenti, hogy az uniós adófizetőknek nem szükséges támogatniuk a gyógyszerek biztonságosságának és hatásosságának biztosításával járó költségek egészét.

A vállalatok adminisztratív díjat fizetnek, mielőtt az EMA megkezdje az értékelést. Az egyes eljárásokra vonatkozó adminisztratív díjat az uniós jogszabályok határozzák meg.

## Milyen információkat kell benyújtani a forgalombahozatali engedély iránti kérelemben?

**A gyógyszerfejlesztő által a forgalombahozatali engedély iránti kérelemben benyújtott adatoknak meg kell felelniük az uniós jogszabályoknak. Tartalmazniuk kell számos adatot, beleértve a gyógyszer gyártásának módjával, a gyógyszer laboratóriumi vizsgálatokban kifejtett hatásaival, a betegeknél megfigyelt előnyös hatásokkal és mellékhatásokkal és a kockázatok kezelésének módjával kapcsolatos információkat, valamint a betegek és az orvosok számára biztosítandó, javasolt információkat.**

A forgalombahozatali engedély iránti kérelemben benyújtott adatoknak tartalmazniuk kell az alábbiakkal kapcsolatos információkat:

- ▶ a gyógyszerrel kezelni javasolt betegcsoport, és hogy van-e kielégítetlen gyógyászati igény, amelyet a gyógyszer megcélozna;
- ▶ a gyógyszer minősége, beleértve a kémiai és fizikai jellemzőit is, például a stabilitását, a tisztaságát és a biológiai hatását;
- ▶ a laboratóriumi tesztekre, a gyógyszer gyártására és a klinikai vizsgálatok elvégzésére vonatkozó nemzetközi előírások betartása („[helyes laboratóriumi gyakorlat](#)”, „[helyes klinikai gyakorlat](#)” és „[helyes gyártási gyakorlat](#)”);
- ▶ a gyógyszer hatásmechanizmusa a laboratóriumi vizsgálatok alapján;
- ▶ a gyógyszer eloszlása a szervezetben és kiválasztás a szervezetből;
- ▶ a gyógyszerrel megcélzott betegcsoportban megfigyelt előnyös hatások;
- ▶ a gyógyszer betegeknél megfigyelt mellékhatásai, beleértve a különleges betegcsoportokat, mint a gyermekek vagy az idősek;

- ▶ a kockázatok kezelésének és monitorozásának módja a gyógyszer engedélyezését követően;
- ▶ milyen információk begyűjtését várják az engedélyezés után az utánkövetéses vizsgálatokból.

A gyógyszerrel kapcsolatos, lehetséges (ismert vagy potenciális) biztonságossági aggályokra, a gyógyszer engedélyezését követően a kockázatok kezelésének és monitorozásának módjára vonatkozó, valamint az azzal kapcsolatos információkat, hogy az engedélyezés után az utánkövetéses vizsgálatokból milyen adatok begyűjtését várják, a „kockázatkezelési terv” elnevezésű dokumentumban részletezik. A kockázatkezelési tervet az EMA biztonságossági bizottsága, a [PRAC](#) értékeli, hogy biztosítsa annak megfelelőségét.

A betegek és egészségügyi szakemberek számára nyújtott információkat (vagyis alkalmazási előírás, címkeszöveg és betegtájékoztató) szintén a gyógyszerfejlesztőnek kell benyújtania, amelyet ezután a CHMP áttekint és jóváhagy.

## Honnan származnak az adatok?

A fejlesztés során egy gyógyszerrel kapcsolatban gyűjtött bizonyítékok többsége a gyógyszerfejlesztő által szponzorált vizsgálatokból származik. A gyógyszerrel kapcsolatban rendelkezésre álló egyéb (például az orvosi szakirodalomban található vizsgálatokból származó) adatokat szintén be kell nyújtania a kérelmezőnek, és ezeket is értékeli.

Egy gyógyszer forgalombahozatali engedélyét alátámasztó vizsgálatoknak szigorú szabályoknak kell megfelelniük, és azokat szabályozott körülmények között végzik. Nemzetközi standardok, az úgynevezett helyes klinikai gyakorlat, vonatkoznak a vizsgálat elrendezésére, az adatrögzítésre és -jelentésre annak biztosítása végett, hogy a vizsgálatok tudományosan megalapozottak legyenek és etikus módon végezzék azokat. Uniós jogszabályok határozzák meg azon bizonyítékok típusát, amelyek a gyógyszer előnyeinek és

kockázatainak megállapításához szükségesek, a gyógyszerfejlesztőknek pedig be kell tartaniuk őket. Az EMA ellenőrzéseket kérhet a standardoknak való megfelelés igazolására.

Az EMA támogatja a jó minőségű vizsgálatok végzését olyan kezdeményezéseken keresztül, mint például az Enpr-EMA és az ENCePP, amelyek független tudományos központok szakértelmét egyesítik szerte Európában. E kezdeményezéseknek köszönhetően a bizonyítékok további forrása egészítheti ki a gyógyszerfejlesztők által benyújtott bizonyítékokat, különösen a gyógyszer engedélyezését követő folyamatos biztonságossági nyomon követéssel összefüggésben.

## Mi az a kulcsfontosságú alapelv, amely alátámasztja egy gyógyszer értékelését?

**A gyógyszer értékelése során alkalmazott legfontosabb elv a gyógyszer előnyei és kockázatai közötti egyensúly. Egy gyógyszer kizárólag akkor engedélyezhető, ha az előnyei meghaladják a kockázatokat.**



### Tudta?

Egyes esetekben, például ha a gyógyszerrel egy életveszélyes betegséget kívánnak kezelni, amelyre nincs kielégítő kezelés, illetve ha a célba vett betegség nagyon ritka, az EMA javasolhatja a forgalombahozatali engedély megadását a gyógyszerre vonatkozó kevésbé teljes körű vagy korlátozott bizonyítékok alapján, feltéve, hogy egy későbbi időpontban további adatokat nyújtanak be.

Csakúgy, mint az összes forgalombahozatali engedély esetén, itt is igazolni kell, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják a kockázatokat.

Minden gyógyszer rendelkezik előnyökkel és kockázatokkal is. Egy gyógyszerrel kapcsolatban gyűjtött bizonyítékok értékelése során az EMA meghatározza, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják-e annak kockázatait abban a betegcsoportban, akiknek a gyógyszert szánták.

Ezenfelül, mivel a kezdeti engedélyezés időpontjában nem minden ismert a gyógyszer biztonságosságával kapcsolatban, annak módja, ahogy a kockázatokat minimalizálják, kezelik és nyomon követik, amint a gyógyszert szélesebb körben alkalmazzák, szintén szerves részét képezi az értékelésnek, és az engedélyezés időpontjában megállapodás születik róla.

Bár egy gyógyszer engedélyezése az előnyök és a kockázatok közötti, átfogó pozitív egyensúlyon alapul populációs szinten, minden beteg más, és a gyógyszer alkalmazása előtt az orvosnak és a betegnek meg kell ítélnie, hogy a gyógyszerről rendelkezésre álló információk és a beteg konkrét helyzete alapján ez-e a megfelelő terápiás opció a számára.

## Ki vesz részt a forgalombahozatali engedély iránti kérelmek értékelésében?

**Egy szakértőkből álló bizottság (a CHMP) értékeli a kérelmeket. Minden tagját egy értékelőkből álló csapat támogatja.**

Az EMA-hoz tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megvizsgálja a gyógyszerfejlesztők által benyújtott kérelmeket, és javaslatot tesz arra vonatkozóan, hogy engedélyezzék-e a gyógyszer forgalomba hozatalát. A bizottság uniós tagállamonként egy-egy tagból és póttagból, valamint Izland és Norvégia által kinevezett egy-egy tagból és póttagból áll. Emellett az Európai Bizottság által kinevezett, lefeljebb öt uniós szakértő is tagja a bizottságnak, akik a vonatkozó szakterületek, például a statisztika és a gyógyszerminőség képviselői.

Az értékelési eljárás során a CHMP tagok mindegyikét egy a nemzeti ügynökségek értékelőiből álló csapat támogatja, akik széles körű szaktudással rendelkeznek, és megvizsgálják a gyógyszer különböző szempontjait, például a biztonságosságát a minőségét és a hatásmódját.

A CHMP más EMA bizottságokkal is együttműködik az értékelés során. Ide tartozik: a [CAT](#), amely a fejlett terápiás gyógyszerek (génterápia, szövetépítés és sejt alapú gyógyszerek) értékelését végzi; a [PRAC](#) a gyógyszer biztonságosságával és a kockázatkezeléssel kapcsolatos szempontok esetén; a [PDCO](#) a gyermekeknél történő gyógyszer-alkalmazással kapcsolatos szempontok esetén; valamint a [COMP](#) a ritka betegségek gyógyszerei esetén.

## Hogyan működik a CHMP?

### **A CHMP által végzett értékeléseknél a szakmai vizsgálat és a kollegiális döntéshozatal alapvető fontosságúak.**

Egy új gyógyszerre vonatkozó kérelem esetén különböző országokból két bizottsági tagot – az előadót és a társelőadót – neveznek ki az értékelés vezetésére (generikus készítmények esetén csupán egy előadót neveznek ki). Az előadókat objektív kritériumok alapján nevezik ki, hogy a lehető legjobban kihasználják az EU-ban rendelkezésre álló szakértelmet.

Az előadó és a társelőadó feladata, hogy egymástól függetlenül elvégezzék a gyógyszer tudományos értékelését. Mindegyikük egy csapatot alakít ki a saját, és néha más nemzeti ügynökségnél dolgozó értékelőkből.

Az értékelő jelentésben mindegyik csapat összefoglalja a kérelemben szereplő adatokat, bemutatja a gyógyszer hatásaival kapcsolatos megállapításait és az adatok esetleges bizonytalanságaival és korlátozottságával kapcsolatos véleményét. Emellett kérdéseket fogalmaznak meg, amelyekre a kérelmezőnek választ kell adnia. A két külön értékelés figyelembe veszi a szabályozási előírásokat, a vonatkozó tudományos

iránymutatásokat és a hasonló gyógyszerek értékelése során nyert tapasztalatokat.

Az előadó és a társelőadó mellett a CHMP a CHMP tagok közül kijelöl még egy vagy több szakmai bírálót. Az ő szerepük az, hogy megvizsgálják a két értékelés lefolytatásának módját és biztosítják, hogy a tudományos érvelés megalapozott, egyértelmű és megbízható.

Az összes CHMP tag, a nemzeti ügynökségük munkatársaival és szakértőivel folytatott megbeszélés alapján, szintén aktív módon hozzájárul az értékelési folyamathoz. Áttekintik az előadók által végzett értékelést, megjegyzéseket fűznek hozzá és további kérdéseket tesznek fel, amelyekre a kérelmezőnek válaszolnia kell. A kezdeti értékelést és a szakmai bírálóktól és más bizottsági tagoktól kapott megjegyzéseket ezután a CHMP plenáris ülésén vitatják meg.

A megbeszélések eredményeként, illetve amint – akár további szakértők révén, akár a kérelmező által szolgáltatott pontosítás révén – új információ válik elérhetővé az értékelés során, a tudományos érvelést úgy finomítják, hogy kialakítsák a végleges javaslatot, amely a bizottságnak az adatokkal kapcsolatos elemzését és véleményét mutatja be. Ez olykor azt is jelentheti, hogy az értékelés során megváltozhat a bizottságnak a gyógyszer előnyeivel és kockázataival kapcsolatos véleménye, és eltérhet az előadók által végzett, kezdeti értékeléstől.

## Kérhet a CHMP további információt az értékelés során?

Az értékelés során a CHMP kérdéseket fogalmaz meg a kérelemben benyújtott bizonyítékokkal kapcsolatban, és felkéri a kérelmezőt, hogy nyújtson be pontosítást vagy további elemzéseket ezen kérdések vonatkozásában. A válaszokat a megállapodás szerinti határidőn belül kell benyújtani.

A CHMP kifogásokat emelhet vagy aggályát fejezheti ki, amelyek a gyógyszer bármely szempontjára vonatkozhatnak. Ha fontos kifogások megoldás nélkül maradnak, az eleve kizárja a forgalombahozatali engedély megadását.

A fontos kifogások érinthetik például a gyógyszer vizsgálatának módját, a gyártás módját, illetve a betegeknél megfigyelt hatásokat, például az előnyös hatások mértékét vagy a mellékhatások súlyosságát.

## Milyen további szakértelemre építhet még a CHMP?

**A tudományos megbeszélés gazdagítása céljából az értékelés során gyakran kerül sor konzultációra tudományos szakismerettel vagy klinikai tapasztalattal rendelkező szakértőkkel.**

A CHMP további szakértőket is igénybe vehet az értékelés során bármikor, hogy tanácsot kérjen az értékelés során felmerülő, speciális szempontokkal kapcsolatban.

A CHMP kérhet támogatást a bizonyos szakterületeken, például a biostatistikában, vagy egy adott terápiás területen, például a daganatokkal kapcsolatban szakértelemmel rendelkező [munkacsoportjaitól](#), illetve tehet fel nekik speciális kérdéseket. Az EMA munkacsoportjainak tagjai mélyreható ismeretekkel rendelkeznek a szakterületükkel kapcsolatos legújabb tudományos fejlesztésekről.

A bizottság a [tudományos tanácsadó csoportokon](#) vagy ad-hoc szakértői csoportokon keresztül is kikérheti külső szakértők véleményét.



### Tudta?

*Az új gyógyszerek (a generikus gyógyszereket kivéve) körülbelül egynegyedénél kerül sor konzultációra külső szakértőkkel az értékelés során.*

Ezeket a csoportokat, amelyek egészségügyi szakemberekből és betegekből állnak, arra kérik, hogy válaszoljanak a gyógyszer klinikai gyakorlatban történő potenciális alkalmazásával és értékével kapcsolatos konkrét kérdésekre.



### Tudta?

*Az EMA a folyamatban lévő gyógyszer-értékelések vonatkozásában rendszeresen folytat eszmecsere más szabályozó ügynökségekkel, mint amilyen az amerikai FDA, a Health Canada és a japán szabályozói testületek. Ezek a [megbeszélések](#) kapcsolódhatnak például klinikai és statisztikai problémákhoz, a kockázatok kezelésének stratégiáihoz és az engedélyezés után folytatandó vizsgálatokhoz.*

## Milyen szerepet játszanak a betegek és az egészségügyi szakemberek?

**A betegek és az egészségügyi szakemberek „belülről” ismerik a problémákat. Ezért a konzultációban szakértőként vesznek részt, és megosztják a véleményüket azzal kapcsolatban, hogy a gyógyszer megfelel-e az igényeiknek.**

A betegeket és egészségügyi szakembereket mint szakértőket hívják meg a tudományos tanácsadó csoportokba vagy ad hoc szakértői csoportokba. A betegek azáltal járulnak hozzá a megbeszélésekhez, hogy hangsúlyozzák például a betegséggel kapcsolatos tapasztalataikat, az igényeiket, és hogy milyen kockázatokat tartanának elfogadhatónak a várható előnyök fényében. Az egészségügyi szakemberek tanácsot adhatnak egy kielégítetlen igényt mutató betegcsoporttal, illetve a klinikai gyakorlatban a gyógyszerrel kapcsolatos kockázatok minimalizálása érdekében javasolt intézkedések kivitelezhetőségével kapcsolatban.



Ezenfelül egyes betegeket meg lehet hívni a CHMP plenáris ülésére személyesen, telefonkonferencia útján, illetve írásban lehet velük konzultálni (egy [kísérlet](#) eredménye megtalálható az EMA honlapján).



### Tudta?

2018-ban körülbelül minden negyedik gyógyszer (a generikus gyógyszereket kivéve) értékelésében vettek részt betegek és egészségügyi szakemberek.

## Mely intézkedéseket tesznek a szakértők függetlenségének megőrzése érdekében?

**A függetlenséget a nagyfokú átláthatóság és a korlátozások alkalmazása garantálja, amennyiben bizonyos érdekeltségekről úgy ítélik meg, hogy potenciálisan befolyásolhatják a pártatlanságot.**

[Az EMA az érdekkonfliktusok kezelésére vonatkozó politikát](#) vezetett be, hogy korlátozza azon tagok, szakértők és munkatársak részvételét, akik esetében az Ügynökség munkáját illetően érdekkonfliktus állhat fenn, egyúttal fenntartva annak lehetőségét, hogy rendelkezésére álljon a legjobb elérhető szakértelem.

A bizottságok, munkacsoportok és tudományos tanácsadó csoportok vagy ad hoc szakértői csoportok tagjai és szakértői érdekeltségi nyilatkozatot nyújtanak be, mielőtt bármilyen EMA tevékenységben részt vennének.

Az Ügynökség minden egyes érdekeltségi nyilatkozathoz egy kockázati szintet rendel az alapján, hogy a szakértőnek van-e olyan közvetlen vagy közvetett érdekeltsége (finansziális vagy egyéb), amely befolyásolhatná pártatlanságát. Egy bizonyos EMA tevékenységben történő részvétel előtt az EMA ellenőrzi az érdekeltségi nyilatkozatot. Amennyiben érdekkonfliktust azonosítanak, korlátozzák a tag vagy szakértő jogait.



### Tudta?

Az EMA honlapján megtalálható az EMA tevékenységeiben résztvevő összes szakértő, köztük a betegek és az egészségügyi szakemberek [érdekeltségi nyilatkozata](#). Az EMA függetlenségéről [éves jelentéseket](#) is közzétesz, amely tényeket és számadatokat tartalmaz a kinyilvánított érdekeltségekről és az ebből eredő korlátozásokról.

A korlátozások közé tartozik a kizárás egy bizonyos téma megvitatásában való részvételből vagy a témával kapcsolatos szavazásból. A tagok és szakértők érdekeltségi nyilatkozatai és a tudományos bizottsági üléseken érvényesített korlátozásokkal kapcsolatos információk nyilvánosan elérhetők az [ülések jegyzőkönyvében](#).

A tudományos bizottságok tagjaiként közreműködő szakértőkre vonatkozó szabályok továbbra is szigorúbbak, mint a tanácsadó testületekben és ad hoc szakértői csoportokban résztvevőkre vonatkozóak. Ilyen módon az EMA a legjobb szakértőket hívhatja meg a tanácsadó csoportokba annak érdekében, hogy a leginkább releváns és teljes körű információt gyűjtse össze, és szigorúbb szabályokat érvényesítsen, amikor a döntéshozatalról van szó.

Hasonlóképpen szigorúbb előírások vonatkoznak az elnökökre és a vezető szerepet betöltő tagokra (például az előadókra), mint a többi bizottsági tagra.

Ezenfelül a bizottságok, munkacsoportok és tudományos tanácsadói csoportok tagjainak (és az ezek ülésein megjelenő szakértőknek), valamint az EMA munkatársainak meg kell felelniük az [EMA Magatartási kódexe](#) által előírt alapelveknek.

## Hogyan alakítja ki végleges ajánlását a CHMP?

A CHMP a végleges ajánlásról hivatalos szavazás útján dönt. Ideális esetben a CHMP konszenzusra jut és egyhangúlag javasolja a forgalombahozatali engedély megadását vagy elutasítását; ilyen konszenzus az esetek 90%-ban születik. Ugyanakkor nincs konszenzus a végleges ajánlással kapcsolatban, a bizottság végleges ajánlása a többség véleményét fogja képviselni.

## Milyen információ érhető el nyilvánosan egy új gyógyszer értékelése során, illetve a döntés meghozatala után?

**Az EMA magas szintű átláthatóságot biztosít a gyógyszerértékelésnél azáltal, hogy közzéteszi az ülések napirendjét és jegyzőkönyvét, a gyógyszer értékelésének mikéntjét leíró jelentéseket, valamint a gyógyszerfejlesztők által a kérelemben benyújtott klinikai vizsgálati eredményeket.**

A CHMP általi értékelés alatt álló, új gyógyszerek listája az EMA honlapján található, és azt havonta [frissítik](#).

Az EMA közzéteszi továbbá valamennyi bizottsága ülésének napirendjét és jegyzőkönyvét, amelyekben információ található az értékelés állásáról.

Amint megszületik a döntés forgalombahozatali engedély megadásáról vagy elutasításáról, az EMA egy átfogó dokumentumcsomagot tesz közzé, amelyet [európai nyilvános értékelő jelentésnek \(EPAR\)](#) neveznek. Ide tartozik a nyilvános CHMP értékelő jelentés, amely részletesen leírja a vizsgált adatokat, és hogy a CHMP miért javasolta az engedély megadását vagy elutasítását.



### Tudta?

*2018 októberéig az EMA több mint 100 nemrégiben az EMA által értékelt gyógyszer tekintetében publikálta a gyógyszerfejlesztők által a kérelemben benyújtott klinikai vizsgálati eredményeket. Ezek nyilvános ellenőrzés céljára hozzáférhetők az EMA klinikai adatokkal kapcsolatos, dedikált [honlapján](#).*

A 2015. január 1. után beérkezett kérelmek esetén az EMA a gyógyszerfejlesztők által a forgalombahozatali engedély iránti kérelem alátámasztására benyújtott klinikai vizsgálati eredményeket is közzéteszi. Régebbi kérelmek esetén a klinikai vizsgálati eredmények a [dokumentumokhoz való hozzáférés iránti kérelem](#) útján kérhetők ki.

Arról, hogy az EMA – a korai fejlesztéstől a kezdeti értékelésig és a forgalomba hozatal utáni módosításokig – mit és mikor tesz közzé az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel kapcsolatban, részletes információk találhatóak az [EMA által értékelt, emberi felhasználásra szánt gyógyszerekre vonatkozó információkról szóló útmutatásban](#).

## Egy gyógyszer értékelésének naptárja

Egy új gyógyszerre vonatkozó kérelem értékelése legfeljebb 210 „aktív” napot vesz igénybe. Ez az aktív értékelési idő az az idő, amelyet az EMA-szakértők töltenek a kérelmező által a forgalombahozatali engedély iránti kérelem alátámasztására benyújtott bizonyítékok értékelésével. Ezt az időt egy vagy két „szünet” szakítja meg, amely során a kérelmező elkészíti válaszait a CHMP által feltett kérdésekre. A szünet maximális időtartama attól függ, hogy a kérelmező szerint milyen hosszú ideig tart válaszolni, azonban erről meg kell állapodni a CHMP-vel. Az első szünet általában 3-6 hónapig, a második pedig 1-2 hónapig tart. Egy új gyógyszer értékelése összességében hozzávetőleg egy évet vesz igénybe.



### Tudta?

Az értékelés ideje 210 helyett 150 napra csökkenthető, ha a gyógyszer „gyorsított értékelési eljárásban” részesül. Ez akkor lehetséges, ha úgy vélik, hogy a gyógyszer közegészségügyi szempontból nagyon fontos, például ha olyan gyógyszerről van szó, amely által kezelendő betegségekre nem létezik terápiás opció, és amellyel megoldható lenne a kielégítetlen gyógyszerigény.

### Kezdeti értékelés és kérdések listája

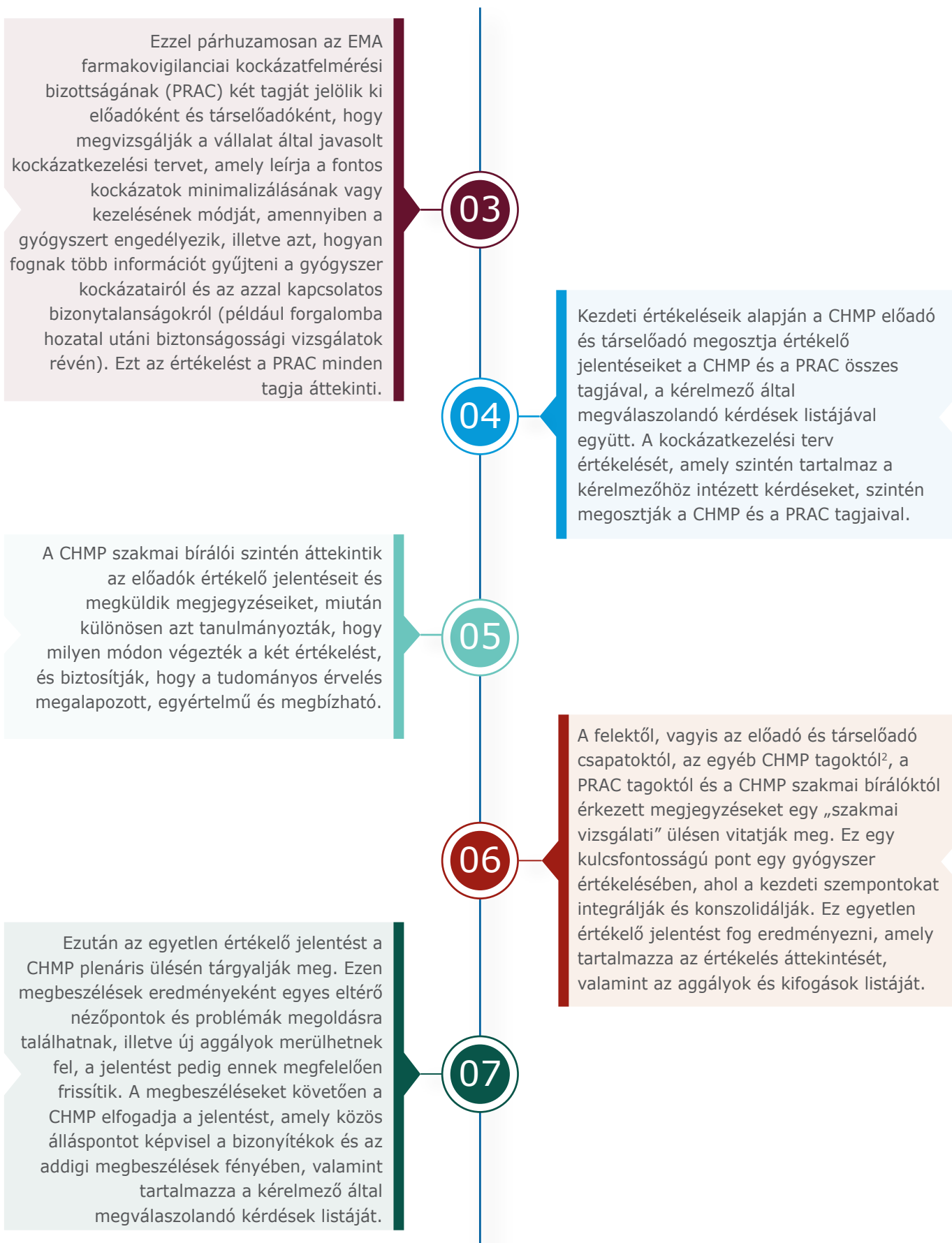
A CHMP előadó és társelőadó csapatai<sup>1</sup> értékeli a gyógyszerrel kapcsolatban benyújtott bizonyítékokat, és egymástól függetlenül elkészítik értékelő jelentésüket, amelyben kiemelik minden problémát vagy aggályt, amelyre a kérelmezőnek megoldást kell találnia.

01

02

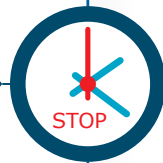
Ebben a lépcsőben az előadók javasolhatják a gyógyszer gyártási helyszínének, a nem klinikai és klinikai vizsgálatok helyszínének, illetve a kérelemben szerepet játszó farmakovigilanciái eljárásoknak az ellenőrzését. Ha a bizottság ezt elfogadja, a vizsgálatot a tagállamok nemzeti ügynökségeinek ellenőrei végzik majd.

<sup>1</sup> Fejlett terápiás gyógyszerek esetén az előadókat az EMA fejlett terápiákkal foglalkozó bizottságának (CAT) tagjai közül jelölik ki; ők egy CHMP koordinátorral működnek együtt.



<sup>2</sup> Fejlett terápiák esetén CAT-tagok is részt vesznek az értékelésben.

Az első értékelés legfeljebb 120 napig tart. Ezután az értékelés megszakad (első szünet), amíg a kérelmező előkészíti a válaszait a CHMP kérdéseire és frissíti a gyógyszer kockázatkezelési tervét.



## További értékelés

08

Az előadó és a társelőadó értékeli a kérelmező által a CHMP által jelzett problémákra adott válaszokat, és a válaszok elemzését egy frissített értékelő jelentésbe foglalják bele.

Akár a kezdeti fázisban, a CHMP tagjai áttekintik és kommentálják a frissített értékelő jelentést.

09

10

A frissített értékelő jelentést a PRAC is áttekinti és megjegyzéseket fűz hozzá, valamint megtárgyalják azt a PRAC plenáris ülésén. Ezen a ponton a PRAC kérheti, hogy a kockázatkezelési terv biztonságossági vizsgálatok elvégzését tartalmazza az engedélyezést követően.

A CHMP és a PRAC tagjainak megjegyzéseit konszolidálják és integrálják egy frissített értékelő jelentésbe, amelyet a CHMP plenáris ülésén megtárgyalnak és elfogadnak az aktív értékelési időszak 180. napjáig. Ez a jelentés legtöbbször egy új kérdéslistát tartalmaz a kérelmező számára, amelyet megoldatlan kérdések listájának neveznek.

11

STOP

Amennyiben megállapodnak a megoldatlan kérdések listájában, az értékelést ismételten szüneteltetik (második szünet), amíg a kérelmező előkészíti a válaszait.

A második szünet után a kérelmező vagy a CHMP szóbeli magyarázatot kérhet, amelyen a kérelmező közvetlenül válaszol a bizottságnak. Erre általában akkor kerül sor, ha a CHMP-nek még mindig súlyos kifogásai állnak fenn a kérelemmel szemben. Ha ez így van, a kérelmezőtől pontosítást kérnek a bizottság által felvetett problémákkal kapcsolatban.

12

13

Az előadó vagy bármelyik CHMP tag ezen a ponton javasolhatja, hogy konzultáljanak egy munkacsoporttal a speciális kérdések kapcsán, illetve, hogy a bizottság további szakértőket hívjon meg, beleértve a betegeket és egészségügyi szakembereket, egy tudományos tanácsadó csoport vagy egy ad hoc szakértői csoport ülésének keretein belül. Megkéri ezt a csoportot, hogy válaszoljon meg speciális kérdéseket, általában a gyógyszer klinikai gyakorlatban történő alkalmazásával kapcsolatban, és a csoport elnöke jelentést küld a bizottságnak a megbeszélés eredményéről.

Végső  
megbeszélés  
és vélemény

Amint a még fennálló problémákra adott válaszokat megkapták és esetlegesen megtárgyalták a vállalattal egy szóbeli magyarázat során, a CHMP előadó és társelőadó megvizsgálja az átdolgozott információkat a kérelmezőtől, és az értékelésüket egy frissített értékelő jelentésbe foglalják, ahogy a PRAC előadó és társelőadó is a kockázatkezelési tervvel kapcsolatban.

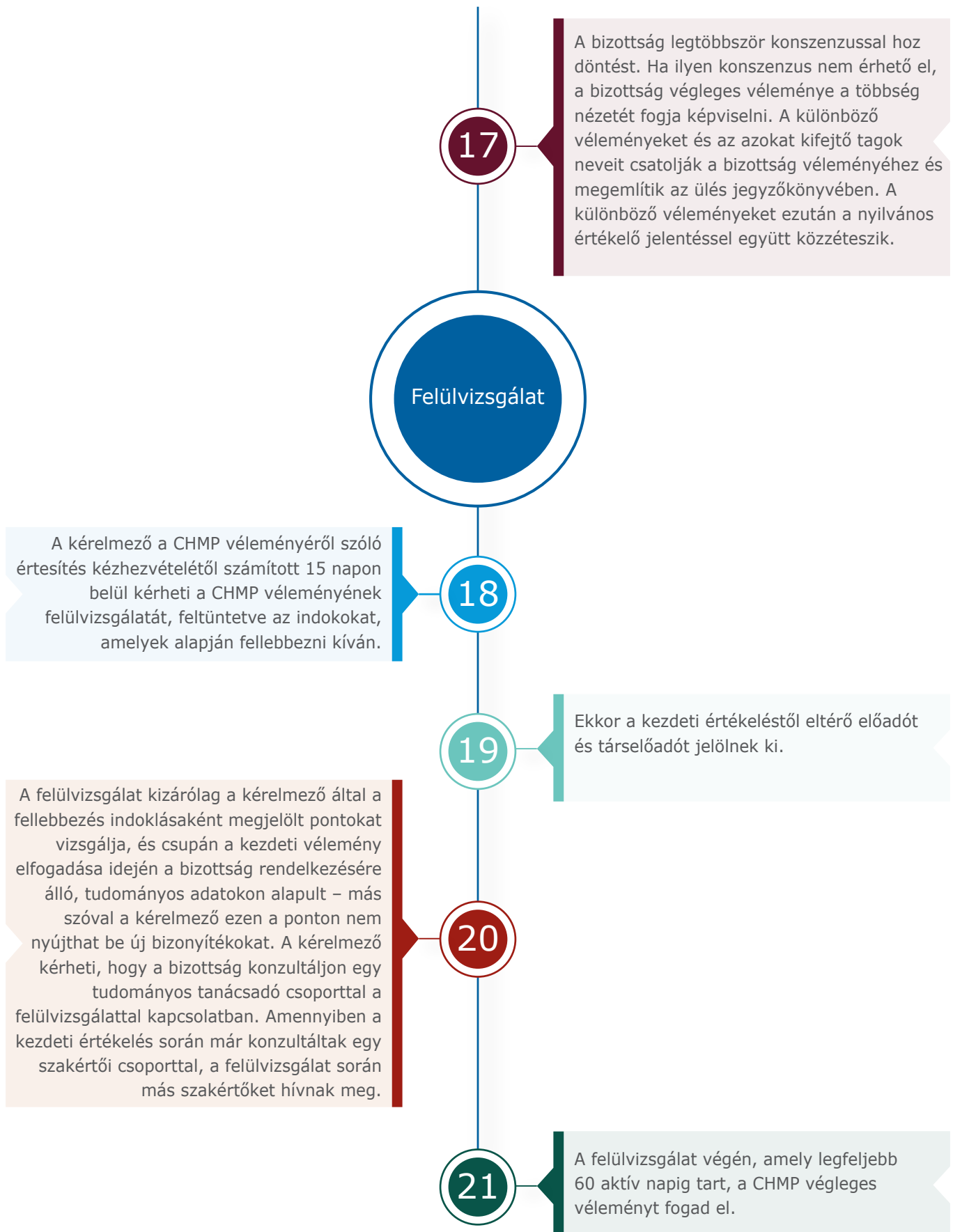
14

15

A frissített értékelő jelentést a két bizottság tagjai áttekintik és a CHMP ülésén megbeszélik.

Legkésőbb az aktív értékelési időszak 210. napjáig a CHMP elfogad egy véleményt a kérelem vonatkozásában. A bizottság ajánlást ad ki azzal kapcsolatban, hogy megadják-e egy gyógyszer forgalombahozatali engedélyét, és ha igen, milyen alkalmazási feltételek mellett. A bizottság megállapodik továbbá az egészségügyi szakembereknek és a betegeknek szóló kísérőiratok (vagyis az alkalmazási előírás, a címkeszöveg és a betegtájékoztató) szövegezésében, valamint minden további adattal kapcsolatban, amelyet a vállalat a gyógyszer engedélyezését követően köteles benyújtani.

16



# 04

## Engedélyezés



### Ki adja ki az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt?

Az EMA egy tudományos testület, amely rendelkezik a gyógyszerek előnyeinek és kockázatainak értékeléséhez szükséges szakértelemmel. Ugyanakkor az uniós jogszabályok értelmében nem rendelkezik felhatalmazással arra, hogy ténylegesen engedélyezze a forgalomba hozatalt a különböző uniós tagállamokban. Az EMA szerepe az, hogy ajánlást készítsen az Európai Bizottság számára, amely ezután meghozza a végleges, jogilag kötelező határozatot azzal kapcsolatban, hogy a gyógyszer forgalomba hozható-e az EU-ban. Ezt a határozatot az EMA ajánlásának kézhezvételétől számított 67 napon belül hozza meg. Így a Bizottság az engedélyező testület minden, központilag engedélyezett gyógyszer esetén.

A Bizottság határozatait az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek [közösségi nyilvántartásában](#) teszik közzé.



#### **Tudta?**

*Bár az új, innovatív gyógyszerek többségét az EMA értékeli és az EU-ban való forgalomba hozatalukat az Európai Bizottság engedélyezi, az EU-ban a legtöbb generikus gyógyszert és vény nélkül kapható gyógyszert nemzeti szinten értékelik és engedélyezik. Ezenfelül több, ma is kapható, régebbi gyógyszert engedélyeztek nemzeti szinten, mivel azokat az EMA megalakítása előtt hozták forgalomba. A legtöbb tagállam rendelkezik a [nemzeti szinten engedélyezett gyógyszerek nyilvántartásával](#).*



# 05

## Hozzáférés

### Ki dönt a betegek gyógyszerekhez történő hozzáféréséről?

**Amint egy gyógyszer az EU egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kap, az árképzéssel és a visszatérítéssel kapcsolatos döntéseket nemzeti és regionális szinten hozzák meg. Mivel ezeket a döntéseket az egyes országok nemzeti egészségügyi rendszerének kontextusában kell meghozni, az EMA-nak nincs szerepe az árképzéssel és a visszatérítéssel kapcsolatos döntésekben. Ugyanakkor az Ügynökség együttműködik a nemzeti testületekkel, például az egészségügyi technológiákat értékelő (HTA) hivatalokkal, hogy megkönnyítse ezeket a folyamatokat.**

Azok a gyógyszerek, amelyek forgalomba hozatalát az Európai Bizottság engedélyezte, az EU egész területén forgalmazhatók. Ugyanakkor a forgalombahozatali engedéllyel rendelkező vállalat dönti el, hogy a gyógyszert mely uniós országokban kívánja forgalmazni.

Ezenfelül, mielőtt egy bizonyos uniós országban a betegek számára elérhetővé tesznek egy gyógyszert, az árképzésre és visszatérítésre vonatkozó döntéseket nemzeti és regionális szinten hozzák az ország nemzeti egészségügyi rendszerének kontextusában.

Az EMA-nak nincs szerepe az árképzéssel és visszatérítéssel kapcsolatos döntésekben. Ugyanakkor ezen folyamatok megkönnyítése érdekében az Ügynökség együttműködik az [egészségügyi](#)

[technológiát értékelő \(HTA\) testületekkel](#), amelyek megvizsgálják az új gyógyszer relatív hatásosságát a meglévő gyógyszerekkel összehasonlítva, valamint az EU egészségügyi finanszírozókkal, amelyek a gyógyszer költséghatékonyságát, annak az egészségügyi költségvetésre kifejtett hatását, valamint a betegség súlyosságát vizsgálják.

Az együttműködés célja, hogy a fejlesztők számára új utakat találjanak a gyógyszer szabályozók, az egészségügyi technológiát értékelő testületek és az uniós egészségügyi finanszírozók adatigényének kielégítésére a gyógyszer fejlesztése során ahelyett, hogy új adatokat generálnának az engedélyezés után. Amennyiben a gyógyszer fejlesztésének korai szakaszában sikerült olyan bizonyítékokat gyűjteni, amelyek a fenti csoportok mindegyikének igényeit kielégítik, az gyorsabbá és egyszerűbbé teszi az árképzésre és visszatérítésre vonatkozó döntéseket. Ennek elérésére az EMA és az [európai egészségügyi technológiaértékelési hálózat](#) (EUnetHTA) a gyógyszerfejlesztők számára felkínálják az a lehetőséget, hogy fejlesztési tervükkel kapcsolatban [egyidejű, koordinált tanácsot](#) kapjanak.

A betegek képviselői rutinszerűen részt vesznek ezekben a konzultációkban, így nézeteik és tapasztalataik beépíthetők a megbeszélésekbe.



#### Tudta?

*2018-ban kérésre 27 gyógyszer fejlesztése során szolgált az EMA és a HTA testületek egyidejű tanáccsal. Ezen esetek kétharmadánál voltak be betegek.*



# 06

## A biztonságosság nyomon követése

### Hogyan biztosítják egy gyógyszer biztonságosságát a forgalomba helyezést követően?

Miután egy gyógyszert engedélyeztek az EU-ban történő alkalmazásra, az EMA és az uniós tagállamok folyamatosan nyomon követik a gyógyszer biztonságosságát és intézkedéseket foganatosítanak, ha az új információk arra utalnak, hogy a gyógyszer már nem olyan biztonságos és hatásos, ahogy korábban gondolták.

A gyógyszerek biztonságosságának nyomon követése számos rutin tevékenységet foglal magában, köztük a következőket: az engedélyezés után a gyógyszerrel kapcsolatos kockázatok kezelése és nyomonkövetése módjának értékelése; a betegek és egészségügyi szakemberek által jelentett, új klinikai vizsgálatokban azonosított, illetve tudományos közleményekben leírt, feltételezett mellékhatások folyamatos monitorozása; a valós életben a gyógyszer előny-kockázat profiljával kapcsolatban a forgalombahozatali engedéllyel rendelkező vállalat által benyújtott jelentések rendszeres értékelése; valamint az engedélyezés időpontjában előírt, forgalomba hozatal utáni biztonságossági vizsgálatok tervének és eredményeinek vizsgálata.

Az EMA egy tagállam vagy az Európai Bizottság kérésére elvégezheti egy gyógyszer vagy gyógyszerosztály felülvizsgálatát is. Ezeket nevezik uniós betérjesztési eljárásoknak; ezeket általában a gyógyszer biztonságosságával, a kockázatminimalizáló intézkedések hatékonyságával, illetve a gyógyszer előny-kockázat profiljával kapcsolatos aggályok miatt indítják.

Az EMA rendelkezik egy dedikált bizottsággal, amely felelős a gyógyszerek biztonságosságának értékeléséért és nyomon követéséért, ez a farmakovigilanciái kockázatfelmérési bizottság (PRAC). Ez a bizottság biztosítja, hogy az EMA és az uniós tagállamok nagyon gyorsan léphessenek, amint egy problémát felismernek, és a betegek védelme érdekében időben megtehessék a szükséges intézkedéseket, például módosíthatják a betegek és egészségügyi szakemberek számára elérhető információkat, illetve korlátozhatják vagy felfüggeszthessék egy gyógyszer alkalmazását.

A farmakovigilanciái tevékenységekkel kapcsolatban további információ az EMA [honlapján](#) található.

**European Medicines Agency**

Domenico Scarlattilaan 6  
1083 HS Amsterdam  
The Netherlands

**Telephone** +31 (0)88 781 6000

**Send a question** [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

**[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)**

A laboratóriumtól a betegig: az EMA által értékelt gyógyszerek útja  
EMA/103813/2018 Rev. 1

© European Medicines Agency, 2020.

Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.