

Brüsszel, 2017.10.26.
COM(2017) 626 final

A BIZOTTSÁG JELENTÉSE AZ EURÓPAI PARLAMENTNEK ÉS A TANÁCSNAK

**A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek helyzete az EU-ban – az uniós
gyermekgyógyászati rendelet alkalmazásának tíz éve**

1. BEVEZETÉS

Napjainkban széles körben elfogadott álláspont, hogy a gyermekek megérdemlik a kifejezetten fiatal betegek számára kifejlesztett és kutatott gyógyszerekhez való hozzáférést. A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztése és tesztelése azonban egészen a közelmúltig messze nem volt kielégítő. Az orvosok a gyermekeknek szánt készítményeket sok esetben saját tapasztalataik, nem pedig klinikai kutatási eredmények alapján írták fel és adták be. Ezenkívül a gyógyszerek számos esetben nem álltak rendelkezésre gyermekek számára megfelelő gyógyszerészeti kiszerelésben. A gyermekorvosok felnőttek számára engedélyezett gyógyszereket voltak kénytelenek alkalmazni módosított adagolással és kiszerelésben. Ilyen esetekben például felnőtteknek szánt tablettákat törtek össze, és azok egy részét adták be. A felnőtteknek készült gyógyszerek e nem előírászerű használata magában hordozza a gyógyszer hatástalanságának, illetve a gyermekekben jelentkező nem kívánt gyógyszerhatásoknak a kockázatát. A felnőttekben nem feltétlenül kialakuló mellékhatások gyermekek esetében jelentősek és súlyosak is lehetnek.

Az elvégzett felmérések alapján számos gyógyászati területen széles körben – gyakran akár 50 % feletti arányban is – elterjedt volt a nem előírászerű használat. Ez alól jelentősebb kivétalként a modernkori orvostudomány egyik sikertörténetének számító gyermekkori védőoltások területe említhető meg.

A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztésének nagymértékű elhanyagolása számos okra vezethető vissza. Egészen az 1980-as évekig gyakran érveltek azzal, hogy a gyermekeket etikai okokból meg kell kímélni a klinikai kutatásokban való részvételtől. Azóta ez az álláspont fokozatosan a jelenlegi konszenzus felé mozdult el, miszerint a gyermekek ugyanolyan színvonalú egészségügyi ellátást érdemelnek, mint bármely más korcsoport, amihez a gyógyszerek bizonyítékokon alapuló felírása is hozzátartozik. A gazdasági megfontolások szintén közrejátszottak abban, hogy a vállalatok tartózkodtak az ebbe az ágazatba történő proaktív befektetéstől. A gyermekek növekednek és fejlődnek, aminek következtében nem alkotnak egységes alcsoportot. Az újszülöttek igényei, valamint biológiai és fiziológiai tulajdonságai jelentősen eltérnek a tizenévesekéitől. Ezért gyakran további, az adott korosztálynak megfelelő kutatásra van szükség, ami összetettebbé teszi a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztésének folyamatát.

E probléma orvoslása érdekében fogadták el a gyermekgyógyászati rendeletet¹ (a továbbiakban: rendelet). A korábbi trendek megfordítása érdekében jogalkotói beavatkozást ítélték szükségesnek. A jogszabályt több évig tartó konzultációs és vitafolyamat alapozta meg. Mintaként szolgáltak továbbá az Egyesült Államokban történt fejlemények, ahol az 1990-es évek végétől jogalkotói megközelítéseket kezdtek alkalmazni a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt készítmények fejlesztése tekintetében.

2017-ben van a rendelet elfogadásának 10. évfordulója. A rendelet 50. cikke (3) bekezdésének megfelelően e jelentés számot ad a rendelet alkalmazásának mind közegészségügyi, mind gazdasági eredményeiről, továbbá elemzi az abban rögzített célkitűzések teljesülésének mértékét. 10 év távlatában a tapasztalatok gazdag adatbázisa

¹ Az Európai Parlament és a Tanács 1901/2006/EK rendelete (2006. december 12.) a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekről, HL L 378., 2006.12.27., 1. o.

áll ugyan rendelkezésre, a gyógyszerkészítmények gyakran közel egy évtizedes fejlesztési ciklusait figyelembe véve ez mégis viszonylag rövid időtartamnak tekinthető.

E jelentés az Európai Gyógyszerügynökség (EMA), valamint annak gyermekgyógyászati bizottsága által készített 10 éves jelentésen², a Bizottság megbízásából készült, a rendelet hatását vizsgáló külső tanulmányon³, valamint a tagállamokkal, az Európai Parlamenttel⁴, betegekkal, vállalatokkal, érdekeltekkel és külső partnerekkel a rendelet hatásával kapcsolatos tapasztalataikról folytatott nyilvános konzultáción és vitákon alapul.

2. A GYERMEKGYÓGYÁSZATI RENDELETET

A rendelet három fő célkitűzés mentén épül fel:

- a gyermekek számára készült gyógyszerek fejlesztésével kapcsolatos, magas színvonalú kutatás ösztönzése és lehetővé tétele;
- az idő folyamán annak biztosítása, hogy a gyermekek az esetek többségében olyan gyógyszereket kapjanak, amelyeket kifejezetten e célra, az adott korcsoport számára megfelelő kiszerelésben és összetétellel engedélyeztek; valamint
- a gyermekeknek szánt gyógyszerekkel kapcsolatos, magas színvonalú információk rendelkezésre állásának növelése.

E célkitűzések elérése érdekében a rendelet kötelezettségek, jutalmak és ösztönzők rendszerét határozza meg, továbbá olyan intézkedéseket vezet be, amelyek biztosítják, hogy a gyógyszerek rendszeres kutatása, fejlesztése és engedélyezése a gyermekek terápiás szükségleteinek megfelelően történjen. Mindez azon az egyszerű elgondoláson alapul, hogy a vállalatoknak köteleseknek kell lenniük minden egyes, általuk kifejlesztett terméket megvizsgálni a gyermekek körében való lehetséges használat szempontjából, ezáltal fokozatosan növelve a gyermekgyógyászati javallatokkal rendelkező készítmények számát.

A rendelet kötelezi a vállalatokat, hogy a fejlesztés korai szakaszában gyermekgyógyászati kutatási és fejlesztési program („gyermekgyógyászati vizsgálati terv”) kidolgozásáról állapodjanak meg az EMA-val. A rendelet közvetlen hatással van a vállalatok kutatási-fejlesztési költségeire, mivel megköveteli a gyermekgyógyászati kutatásba való befektetést. Ha egy vállalat nem tesz eleget a megállapodásnak, zárhatja a (felnőtteknek készült gyógyszerekre szóló) forgalombahozatali engedélyét. A rendelet így túlmutat a ritka betegségek gyógyszereiről szóló jogszabályban (a

² 10 éves jelentés az Európai Bizottságnak – Általános jelentés a gyermekgyógyászati rendelet alkalmazása nyomán szerzett tapasztalatokról.

³ Technopolis, Tanulmány a gyermekgyógyászati rendelet gazdasági hatásáról, beleértve a rendeletben meghatározott jutalmakat és ösztönzőket, 2017.

⁴ Az Európai Parlament 2016. december 15-i állásfoglalása a gyermekgyógyászati célú gyógyszerekről szóló rendeletről.

továbbiakban: a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet)⁵ meghatározott mechanizmusokon, amely csupán ösztönzőket biztosít a vállalatok számára.

A rendeletben meghatározott kötelezettségeket további intézkedések, így különösen a következők egészítik ki:

- mentességek rendszere azon gyógyszerek vonatkozásában, amelyek nem valószínű, hogy hasznosak a gyermekek számára, valamint a végrehajtandó gyermekgyógyászati intézkedések ütemezésével kapcsolatos halasztások rendszere;
- a kötelezettség teljesítéséért járó jutalom: a kiegészítő oltalmi tanúsítvány⁶ hat hónappal történő meghosszabbítása;
- a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos külön jutalom: a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet szerint biztosított 10 éven felül további két év piaci kizárólagosság;
- a forgalombahozatali engedélyek új típusa, a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély, amelynek célja a lejárt szabadalmú készítmények gyermekgyógyászati terápiás javallataival kapcsolatos fejlesztés ösztönzése;
- az EMA szakértői bizottsága, a gyermekgyógyászati bizottság; valamint
- az EMA által az iparági szereplőknek nyújtott ingyenes tudományos tanácsadás rendszere.

A rendelet emellett egyéb intézkedések, köztük a következők révén támogatja a magas színvonalú tájékoztatást és kutatást:

- a gyermekgyógyászati kutatást folytató vizsgálók és vizsgálati központok hálózatait felölelő európai uniós hálózat (Enpr-EMA);
- a terápiás igények európai uniós jegyzéke;
- gyermekgyógyászati tanulmányok nyilvános adatbázisa; valamint
- a vállalatokkal szemben támasztott azon követelmény, hogy az engedélyezett gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos meglévő gyermekgyógyászati tanulmányaikat ellenőrzésre benyújtsák a szabályozó hatóságokhoz.

A rendelet egyik vitathatatlan eredménye, hogy felhívta a figyelmet a gyermekgyógyászati fejlesztésre, és növelte az abba történő pénzügyi befektetést. A vállalatok lényegében arra kényszerültek, hogy gyermekgyógyászati infrastruktúrát

⁵ Az Európai Parlament és a Tanács 141/2000/EK rendelete (1999. december 16.) a ritka betegségek gyógyszereiről, HL L 18., 2000.1.22., 1. o.

⁶ Az Európai Parlament és a Tanács 469/2009/EK rendelete (2009. május 6.) a gyógyszerek kiegészítő oltalmi tanúsítványáról, HL L 152., 2009.6.16., 152. o.

építsenek ki, valamint szakértelmet alakítsanak ki annak érdekében, hogy termékfejlesztésük megfelelő gyermekgyógyászati kutatási lehetőségekkel egészüljön ki.

A Bizottság 2013-ban tette közzé a rendelet hatásával foglalkozó első jelentését, amelyben azt a következtetést vonta le, hogy a fejlődés biztató jelei figyelhetők meg⁷. Ugyanakkor megállapította, hogy a gyógyszerkészítmények fejlesztésének időtartamából adódóan legalább 10 évre lesz szükség a helyzet teljes körű megismeréséhez.

A rendelet 50. cikkének (3) bekezdése szerint a Bizottságnak 2017-ben kell közzétennie a második jelentését. A második jelentésnek vizsgálnia kell azt is, hogy szükséges-e mérlegelni a rendelet módosítását.

3. A GYERMEKGYÓGYÁSZATI FELHASZNÁLÁSRA SZÁNT GYÓGYSZEREK SZÁMÁNAK NÖVEKEDÉSE

Az adatok arról tanúskodnak, hogy a rendelet jelentős hatással volt a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek Európai Unión belüli fejlesztésére. A gyógyszerészeti vállalatok immár az általános gyógyszerfejlesztés szerves részének tekintik a gyermekgyógyászati fejlesztést, bár sokan közülük továbbra is szabályozási, nem pedig vállalati indíttatású tevékenységként tekintenek a gyermekgyógyászati kutatásra.

A 2007 és 2016 közötti időszakban több mint 260, gyermekeknek készült gyógyszert engedélyeztek (új forgalombahozatali engedély és új javallat), amelyek többsége a rendelet követelményeihez köthető. Az elfogadott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek száma 2017-ben meghaladta az 1000-et, és ebből 131 végrehajtása 2016 végére be is fejeződött. Nyilvánvaló emelkedés figyelhető meg a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek számában – azok több mint 60 %-át véglegesítették az utóbbi három évben. Ezenkívül az illetékes hatóságok által a rendelet hatálybalépése előtt végzett, gyermekgyógyászati vizsgálatokkal kapcsolatos értékelések (45. cikk) segítettek a már meglévő bizonyítékok konszolidálásában, valamint a termékinformációk gyermekgyógyászati adatokkal való kiegészítésében.

A rendelet hatálybalépése előtti és utáni helyzetet összehasonlítva egyértelmű pozitív hatás figyelhető meg az új engedélyezett gyógyszerek szempontjából. Ugyanez mondható el a kifejezetten gyermekgyógyászati jogszabályokkal rendelkező, illetve azokkal nem rendelkező jogrendszerek nemzetközi szintű összehasonlítása esetében is: a megfelelő jogszabályi rendelkezéseket megállapító jogrendszerek esetében jelentősen nagyobb a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt új gyógyszerek száma.

A fenti mennyiségi elemzés egyértelmű előrelépésről tanúskodik. E kibocsátási adatok megfelelnek továbbá a várakozásoknak, tekintettel arra, hogy egy gyógyszer forgalomba hozatala akár 10 évet is igénybe vehet, ami kiemeli a rendelet által előidézett változás fokozatos jellegét.

A forgalombahozatali engedély kibocsátása vagy a meglévő forgalombahozatali engedély gyermekgyógyászati információval történő kiegészítése ugyanakkor nem jelenti automatikusan azt, hogy az adott készítmény az Unión belül minden beteg gyermek számára azonnal elérhető lesz. Ezt okozhatják a nemzeti szinten még meghozatalra váró

⁷ Jobb gyermekgyógyszerek: az elképzeléstől a megvalósításig, COM(2013) 443.

megtérítési döntések, illetve a felírási szokások, amelyek miatt az orvosok nem feltétlenül váltanak közvetlenül az újonnan engedélyezett készítményekre. Az e jelentés egyik információforrásként szolgáló felmérésben⁸ a válaszadók többsége 5–10 % közöttire becsülte a rendelkezésre álló gyógyszerek számának növekedését. A felírási szokások kapcsán a válaszadók 58 %-a tapasztalta azt, hogy a rendelet alkalmazásának eredményeként a kezelőorvosok egyre nagyobb arányban írnak fel jóváhagyott gyógyszereket azok engedélyezett gyermekgyógyászati javallatainak megfelelően. Mindez pozitív tendenciára utal, ugyanakkor bizonyos fokú tétlenségre is felhívja a figyelmet. A nem előírászerű gyermekgyógyászati használat csökkentése végső soron nem csupán az engedélyezett, gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek nagyobb számától függ, hanem azok tényleges rendelkezésre állásától és felhasználásától is.

Ebben az összefüggésben megfigyelhető, hogy a vállalatok sok esetben szakaszosan vezetnek be az új készítményeket, aminek következtében azok csak késésekkel lesznek elérhetők az Unió teljes területén. Ez annak ellenére sem küszöbölhető ki teljes mértékben, hogy a rendelet több eszközről is rendelkezik annak biztosítása érdekében, hogy a gyermekgyógyászati vizsgálati terv végrehajtását és a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszer engedélyezését követően a terméket forgalomba hozzák. A 36. cikk szerinti, kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom például csak akkor jár, ha az adott terméket minden tagállamban engedélyezik. A 33. cikk emellett rögzíti azt a kötelezettséget, miszerint a készítményt az új gyermekgyógyászati javallat engedélyezésének időpontjától számított két éven belül forgalomba kell hozni.

A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek kellő időben történő rendelkezésre állását befolyásolhatja a gyermekgyógyászati vizsgálatoknak a felnőtteknek szánt megfelelő készítmény véglegesítéséhez és engedélyezéséhez képesti késedelmes befejezése is. A rendelet rendelkezik a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekben rögzített intézkedések megkezdésének vagy elvégzésének részleges vagy teljes körű elhalasztásáról (20. cikk) annak érdekében, hogy a kutatásra csakis abban az esetben kerüljön sor, ha az biztonságos és etikus. Emellett mindez azt a célt is szolgálja, hogy elkerüljék a felnőtt lakosságnak szánt készítmények engedélyezésének akadályozását vagy késleltetését.

A tapasztalatok alapján a halasztás eszközével széles körben élnek. A gyakorlatban szinte az összes olyan, új gyógyszerekkel kapcsolatos gyermekgyógyászati vizsgálati terv, amely felnőtteknek szánt gyógyszerekre vonatkozó fejlesztéshez kapcsolódik, egy vagy több intézkedés halasztását foglalja magában. A halasztás elviekben hasznos és megfelelő eszköz, és nincs arra utaló bizonyíték, hogy a gyermekgyógyászati követelmények késleltették volna a felnőttekkel kapcsolatos kérelmek feldolgozását. A gyermekgyógyászati bizottság ugyanakkor bizonyos esetekben nagyon hosszú időtartamú halasztásokat fogadott el. Ez frusztrációt okozhat a klinikai orvosok és a betegek körében, különösen abban az esetben, ha ennek következtében egy ígéretes gyermekgyógyászati készítmény csupán évekkel a felnőttek körében való felhasználásra szóló engedély kibocsátását követően áll rendelkezésre. Emellett a tapasztalatok azt mutatják, hogy megnehezíti a gyermekgyógyászati vizsgálatokban részt vevő betegek toborzását, ha e vizsgálatokra a felnőttek körében való felhasználásra történő engedélyezés után kerül csak sor. Előfordulhat, hogy a szülők nem látnak hozzáadott értéket abban, hogy beleegyezzenek a gyermekük klinikai kutatásban való részvételébe,

⁸ Technopolis-tanulmány, 5. fejezet.

ha a felnőtteknek készült termék (nem előírászerű módon) már eleve alkalmazható a gyermekek körében is. Bizonyos esetekben a halasztások a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek késedelmes benyújtásával is összefüggtek. Ugyan csökkenő tendencia figyelhető meg a késedelmes benyújtások (jelenleg 10-20 %-os) arányában, a halasztás ilyen esetekben történő elfogadása előtt alaposabb ellenőrzésre lehet szükség annak elkerülése érdekében, hogy e késedelmes benyújtások hátráltassák a gyermekgyógyászati terápiák gyors ütemű fejlődését.

Ebben az összefüggésben az EMA és annak gyermekgyógyászati bizottsága jelenleg a múltbeli gyakorlatok felülvizsgálatával igyekszik biztosítani a következetességet és a jelentős halasztások elkerülését. A tudomány fejlődésére való tekintettel helytálló lehet az az érvelés, hogy a hosszú halasztások elfogadása egyet jelent a termékfejlesztés által a beteg gyermekek számára rendelkezésre álló, meglévő kezelésekhez képest nyújtott jelentős terápiás előny kétségbe vonásával. Ilyen esetekben a gyermekgyógyászati vizsgálatok hozzáadott értéke elhanyagolható lehet. Emellett a hosszú halasztások alááshatják a gyermekgyógyászati követelmények végrehajthatóságát, valamint a jutalmak rendelkezésre állását, különösen abban az esetben, ha a halasztás a készítményre vonatkozó védelmi időszakok lejártá utáni időpontig szól.

4. A GYERMEKGYÓGYÁSZATI FELHASZNÁLÁSRA SZÁNT GYÓGYSZEREK MINŐSÉGÉNEK JAVULÁSA

Az elmúlt 10 évben bizonyos terápiás területeken komoly előrelépések történtek a rendelet alkalmazásának következtében a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek rendelkezésre állása terén. Ennek szemléletes példaként gyakran említik a reumatológiát vagy a fertőző betegségek kezelését. A reumatológiai betegségekben szenvedő gyermekek számára rendelkezésre álló új kezelések számának a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek végrehajtását követően bekövetkezett ugrásszerű növekedése átformálta ezt az azelőtt elhanyagolt ágazatot.

Ugyanakkor ezek a kedvező fejlemények nem stratégiai terv nyomán következtek be, hanem sok esetben a felnőtteknek szánt gyógyszerek piacain történt fejleményekhez köthetők. A legtöbb gyermekgyógyászati vizsgálati terv kiindulópontjaként felnőttekre vonatkozó kutatási és fejlesztési program szolgál, a gyermekgyógyászati területen történő előrelépés pedig a vállalatok felnőttekkel kapcsolatos termékfejlesztési folyamatától függ, továbbá azt az adott piaci szegmensben elérhető lehetséges bevétel mértéke is befolyásolja. Amennyiben a felnőttekkel kapcsolatos igények vagy piaci várakozások átfedésben vannak a gyermekgyógyászati igényekkel, a gyermekek közvetlen előnyben részesülnek. Ugyanakkor jelentős azoknak a betegségeknek a száma, amelyek biológiai szempontból eltérőek a felnőttekben és a gyermekekben, amelyek esetében különböznek a betegség okozta terhek, illetve amelyek csak a gyermekek körében fordulnak elő. E betegségek azok, amelyek tekintetében a rendelet által bevezetett mechanizmus bizonyos esetekben nehezen képes megbirkózni a tudományos, klinikai és piaci realitásokkal.

Ez mindkét irányba hat. Közelmúltbeli példaként megemlíthető a 2-es típusú diabétesz, amely esetében a felnőtteket célzó új fejlesztések hulláma a rendszer túlterhelésével fenyeget; e betegség az 1980-as évek óta egyre nagyobb arányban sújtja a felnőtt lakosságot. Az elmúlt évek során számos vállalat összpontosított erre a terápiás területre, aminek következtében tetőztek az azzal kapcsolatos tevékenységek, és újonnan kifejlesztett készítmények egész sora jelent meg. E hullámokkal párhuzamosan növekedik a gyermekgyógyászati kutatási programok száma is, jóllehet – a terápiás

igények szempontjából – azok kisebb számban is elegendőek lettek volna, hiszen a 2-es típusú diabétesz előfordulása a gyermekek körében továbbra is viszonylag ritka. A betegség által a felnőttek és a gyermekek körében okozott terhek ezen eltérése a gyermekgyógyászati vizsgálatok lefolytatásával kapcsolatos megvalósíthatósági problémákat is felvethet, ugyanis előfordulhat, hogy egyszerűen nem toborozható elegendő fiatal beteg a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekkel kapcsolatos vizsgálatokhoz. E problémák lehetséges megoldásaként felvetették, hogy a vállalatoknak együttműködésen alapuló kutatást kellene folytatniuk, hogy hatékonyabban kihasználhassák a betegek szűk körét. A vállalatok azonban hezitálnak, különösen, ha mindez a felnőttek körében komoly pénzügyi sikerrel kecsegtető fejlesztéseket érint. Ugyanakkor a gyermekgyógyászati bizottságnak nem áll módjában prioritási sorrendet felállítani egy adott terápiás terület gyermekgyógyászati vizsgálati tervei között. A helyzet gyakran a 22-es csapdájára emlékeztet, hiszen kizárólag a klinikai vizsgálatok eredményei alapozhatják meg a gyermekgyógyászati bizottság azzal kapcsolatos döntését, hogy mely vegyületek biztosíthatják a legígéretesebb eredményeket a gyermekek körében. A gyermekgyógyászati bizottság beavatkozása és a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek elfogadása azonban általában azt megelőzően történik, hogy ezek az eredmények rendelkezésre állnának, mivel a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek célja az elvégzendő vizsgálatok meghatározása és elfogadása.

A másik végletet a kizárólag gyermekeket érintő betegségek jelentik, amelyek esetében a gyermekgyógyászati fejlesztés jellemzően egy adott vállalat arra vonatkozó stratégiai döntésétől függ, hogy a folyamatban lévő, felnőtteket megcélzó programoktól függetlenül befektessen e területbe. Ez különösen igaz az olyan ritka gyermekbetegségek esetében, mint a gyermekrák.

Megnyugtató fejlemény, hogy az elfogadott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek elemzése alapján a tervek terápiás területek széles körét ölelik fel, amelyek közül a legmeghatározóbb a fertőző betegségek (12 %), az onkológia (10 %) és az endokrinológia, illetve az anyagcsere-betegségek területe (9 %), ugyanakkor nincs konkrét domináns terület. Összességében ez jó jel, ugyanis azt mutatja, hogy a gyermekgyógyászati tevékenységek betegségek széles körére kiterjednek. Ugyanakkor az elfogadott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek nagy száma nem jelenti automatikusan azt, hogy a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek száma is nagy. Jelenleg a legnagyobb számban az immunológia, illetve a reumatológia (14 %), a fertőző betegségek (14 %), a szív- és érrendszeri betegségek és a vakcinák (10-10 %) területén hajtottak végre a legnagyobb számban gyermekgyógyászati vizsgálati terveket, miközben az onkológia és az endokrinológia, illetve az anyagcsere-betegségek területe a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek mindössze 7 %-át képviseli. Ezenkívül az elfogadott és végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek számában mért fejlődés nem feltétlenül felel meg a gyermekbetegségek okozta terheknek, ami rámutat arra, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztését gyakran a felnőtteknek szánt gyógyszerek fejlesztése hajtja. A rendelet korlátozott lehetőségeket biztosít a tevékenységek meghatározott terápiás területek felé történő terelésére. A lehetőségek megteremtése szempontjából fontos szerepet játszik, mennyiségi hatása azonban továbbra is a piaci erőktől, a növekedés mozgatórugóitól és a vállalatok stratégiai megfontolásaitól függ.

A gyermekgyógyászati igények megvitatása során gyakran használják fel a gyermekonkológia példáját az olyan területek esettanulmányaként, ahol a nagy fokú kielégítetlen gyermekgyógyászati igény ellenére nem történt kellő mértékű előrelépés. Bár a gyermekkori rák ritka, a csecsemőkor feletti betegségek között továbbra is ez a

vezető halálozási ok annak ellenére, hogy a rák bizonyos fajtái esetében javult a túlélési arány az elmúlt évtizedekben.

A gyermekonkológiáról folytatott viták gyakran kapcsolódnak a rendelet 11. cikkében meghatározott mentesítések koncepciójához; az említett cikk szerint bizonyos készítmények vagy készítmények csoportjai meghatározott körülmények között mentesíthetők a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekre vonatkozó követelmények alól. Erre abban az esetben kerül sor, ha valószínű, hogy a készítmény gyermekek körében történő alkalmazása hatástalan vagy nem biztonságos, vagy ha nincs jelentős terápiás előnye a meglévő kezelésekhez viszonyítva. A kötelezettség alól abban az esetben is mentességet adnak, ha kizárólag felnőttekben fordul elő az a betegség vagy állapot, amelynek kezelésére az adott gyógyszer szolgál.

A mentesítés – amelynek célja a szükségtelen vagy adott esetben etikátlan kutatás elkerülése, valamint a kötelezettségek hatályának megfelelő meghatározása – megfelelő eszköznek tekinthető. 2007 és 2016 között az EMA néhány, csoportra vonatkozó mentességet, valamint 486 termékspecifikus mentességet biztosított az adott gyógyszerek egy vagy több állapot kezelésére való felhasználása tekintetében. Ugyanakkor bár általánosságban megfelelőnek tekinthető a gyermekgyógyászati vizsgálatok alóli mentesség, az, hogy a kezelt betegség a gyermekek körében nem fordul elő, nem zárja ki, hogy az adott vegyület – más állapot kezelésében – hasznos legyen a gyermekek számára is. Például bár a gyermekk rák számos formája biológiailag hasonló a felnőttkori rákhoz, más szervekben fordulnak elő, ezért általában más állapotnak tekintik azokat. Következésképpen egy vállalat akkor is jogosult lehet a mentességre, ha a felnőttek számára kifejlesztett vegyület hatásmechanizmusa és molekuláris célja a gyermekk rák bizonyos formáinak kezelésében és hatásos lehet.

Az elmúlt néhány évben határozott emelkedés volt tapasztalható a piacon megjelenő innovatív, felnőttkori rák elleni gyógyszerek – köztük első osztályú termékek – számában, ami jobb kezelési lehetőségeket, a betegek szempontjából elérhető jobb eredményeket, valamint magasabb túlélési arányt eredményezett. Jelenleg a rák kezelésére szolgáló gyógyszerek alkotják az új gyógyszerek legnagyobb kategóriáját, a lehetséges elérhető bevétel szempontjából is. A várakozások szerint e gyógyszerek folytatni fogják a terápiás lehetőségek környezetének átformálását⁹.

A jelenleg a fejlesztés késői stádiumában lévő gyógyszerek csaknem negyede rákterápiás gyógyszer. A rákellenes gyógyszerek fejlesztése iránti folyamatosan magas érdeklődést jelzi a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet is, amelyben a rákellenes terápiák tartoznak a ritka betegségek gyógyszereinek leggyakrabban megjelölt feltételei közé, ami a szűkebb területre összpontosító gyógyszerek felé tartó tendenciára utal¹⁰. Ez a felnőttkori terápiák terén megfigyelhető fejlődési ütem azonban egyelőre nem tükröződik a beteg gyermekek vonatkozásában. A gyermekk rák bizonyos formái esetében a legkorszerűbb gyógyszerek – ha egyáltalán vannak ilyenek – az 1990-es évekből származnak.

⁹ QuintilesIMS Institute, Outlook for global medicines through 2021 (A globális gyógyszerek kilátásai 2021-ig), 2016. december.

¹⁰ Európai Bizottság, A ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos kutatást, valamint azok fejlesztését és rendelkezésre állását támogató uniós és tagállami ösztönzők jegyzéke, SWD(2015)13.

A rendeletnek ugyanakkor megvolt a hatása, és alkalmazása új rákellenes gyógyszerek engedélyezését eredményezte. Hét, gyermekgyógyászati vizsgálati tervekben meghatározott fejlesztés fejeződött be, amelyek kezelési lehetőségeket teremtenek a magas grádusú glióma, a rhabdomyosarkóma, az asztrocitóma és az akut limfoblasztos leukémia vonatkozásában.

A rákellenes gyógyszerekre vonatkozó, több mint 30 különböző hatásmechanizmusra kiterjedő elfogadott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek száma (68) további jövőbeli előrelépések ígértét hordozza magában. E gyermekgyógyászati vizsgálati tervek némelyike a hatásmechanizmus elvén alapul, azaz bár a vállalat mentességet élvezhetett volna, az adott vegyület gyermekrák kezelése szempontjából nyújtott lehetséges előnyére tekintettel elkötelezte magát gyermekgyógyászati kutatás mellett.

Az effajta elkötelezettségben közrejátszhattak a rendelet másodlagos hatásai is, az ugyanis jellegéből fakadóan a gyermekgyógyszerek fejlesztésével kapcsolatos szakértelmük megerősítésére ösztönözte a vállalatokat. Ez hatást gyakorolhatott a vállalatok stratégiai döntéshozatalára, amelyben így nagyobb figyelmet kaptak a gyermekgyógyászati igények, különösen innovatív vizsgálati módok, például „kosaras” vizsgálatok alkalmazása formájában, amelyek során az adott vegyületet a rák több fajtája tekintetében is megvizsgálják, hogy a folyamat korai szakaszában kiválasztható a legígéretesebb fejlesztéseket. Az EU emellett célzott finanszírozással támogatja a rákkutatást, többek között az Európai Stratégiai Beruházási Alap útján¹¹.

A fenti eredmények vegyes jellege következtében egyesek a hatásmechanizmus elvére való támaszkodás fokozását, továbbá jogszabály-módosításokat sürgetnek annak érdekében, hogy a vállalatok kénytelenek legyenek növelni a gyermekrák elleni gyógyszerek fejlesztésébe történő befektetésüket. Ez azonban befolyásolhatja a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek hatályának kiszámíthatóságát, és arra sarkallhatja a vállalatokat, hogy újragondolják a termékfejlesztés egészét.

Az EMA 2015-ben a hatásmechanizmus elvének fényében felülvizsgálta a csoportra vonatkozó mentességgel kapcsolatos határozatát, és korlátozta annak hatályát. Ez a megközelítés segítheti a rákellenes gyógyszerek fejlesztésével foglalkozó vállalatokkal történő együttműködést. Amennyiben e vállalatok ennek ellenére mentességet szeretnének igénybe venni, azt indokolniuk kell a gyermekgyógyászati bizottsághoz (termékspecifikus mentesség iránti kérelemként) közvetlenül benyújtott kérelmükben. Ez a folyamat lehetővé teszi, hogy a mentesség iránti kérelem ellenére közvetlen vita keretében kiemeljék az adott készítmény gyermekgyógyászati lehetőségeit. A vállalatok így ezenkívül kénytelenek a fejlesztés korábbi szakaszában felvenni a kapcsolatot a bizottsággal, hogy bizonyosságot szerezzenek a rendeletben meghatározott követelményekkel kapcsolatban. A csoportra vonatkozó mentesség felülvizsgálatának egyelőre nincs látható eredménye, ugyanis még nem telt le a hároméves átmeneti időszak, ez a megközelítés azonban jogi szabályok előírása helyett a vállalatok általi hatékonyabb beszerzést tehet lehetővé.

Ezenkívül még nem teljesen egyértelmű, hogy a vállalatok miért nem használják ki a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet által biztosított előnyöket a gyermekrák tekintetében úgy, ahogy azt a felnőttkori rák esetében teszik. A felnőttkori rák elleni új

¹¹ https://ec.europa.eu/commission/news/investment-plan-europe-eib-grants-financing-apeiron-2017-aug-28_en.

készítmények jelentős részére kedvezően hatott a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet ösztönző ereje, a gyermekrák esetében ez azonban nincs így, jóllehet a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet értelmében mindkettő ritkának minősül.

5. A TISZTÁN GYERMEKGYÓGYÁSZATI FEJLESZTÉSEK ELŐMOZDÍTÁSA

A rendelet pozitív hatása, valamint az az által előmozdított kultúraváltozás a gyermekgyógyászati fejlesztésnek az új gyógyszerek általános fejlesztésébe történő integrációja terén érzékelhető a leginkább. Kevésbé nyilvánvaló a tisztán gyermekgyógyászati fejlesztések terén, amelyek nem felnőttekkel kapcsolatos projektek folyamányai, hanem amelyek esetében az adott vállalat egy meghatározott gyermekbetegség kezelésére szolgáló, kizárólag gyermekeknek szánt gyógyszer szándékozik kifejleszteni.

A rendelkezésre álló adatok nem szolgálnak kellő bizonyítékkal a határozott következtetések levonásához. Egyesek szerint ugyanakkor a kizárólag gyermekeknek szánt készítmények esetében a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek folyamata csak tovább komplikálja a gyermekek kezelésére szánt készítmények fejlesztését, és meghosszabbíthatja a fejlesztés időtartamát. Az EMA és a gyermekgyógyászati bizottság ugyan továbbra is hasznos útmutatást tud nyújtani, és gondoskodni fog róla, hogy a fejlesztés a gyermekgyógyászat összes vonatkozó részterületére kiterjedjen, mindennek hatása kevésbé jelentős a felnőttekkel kapcsolatos fejlesztésekhez képest. Mindazonáltal a vállalatok körében – legalábbis a rendelet alkalmazásának első éveiben – az időben történő befejezés érdekében élvezhettek elsőbbséget a felnőttekkel kapcsolatos fejlesztéshez köthető gyermekgyógyászati projektek a kizárólag gyermekgyógyászati projektekkal szemben. Bár ez az idő múlásával megváltozhat, fontosnak tűnik – különösen a ritka gyermekbetegségek esetében – jobban megérteni a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet és a gyermekgyógyászati rendelet együttes hatását, valamint az azok közötti összefüggéseket e jogszabályi eszközök kizárólag gyermekekben előforduló betegségekkel kapcsolatos hozzáadott értékének felméréséhez.

A kizárólag gyermekgyógyászati fejlesztéseknek egy olyan területe van, ahol a rendelet konkrét érdeklődést igyekszik teremteni, azonban mindeddig kudarcot vallott. A rendelet bevezette a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély fogalmát. A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély (30. cikk) elsődleges célja, hogy ösztönözze a lejárt szabadalmú meglévő vegyületekkel kapcsolatos kutatást, illetve elősegítse a nem előírászerű használatról az engedélyezett – így biztonságosabb és a forgalombahozatali engedély révén megfelelőbb keretek között történő – használatra való áttérést. Jóváhagyását követően a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély tíz éves időszakra biztosít a gyártónak forgalombahozatali védelmet, amely alatt a termék generikus másolatai nem hozhatók forgalomba.

A mai napig mindösszesen három gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyt adtak ki. Ez egyértelműen kevesebb a vártnál, tekintettel arra, hogy a lejárt szabadalmú gyógyszerek támogatására több éve biztosítanak a hetedik keretprogramból elkülönített uniós forrásokat. Bár az EMA több mint 20, gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély benyújtására irányuló gyermekgyógyászati vizsgálati tervet fogadott el, továbbra is bizonytalan, hogy ezek közül hányat fognak végül végrehajtani, és hány fogja új készítmények kereskedelmi forgalomba hozatalát eredményezni.

A további érdeklődés felkeltése érdekében a Bizottság és az EMA 2014-ben egyértelművé tette, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyekhez kapcsolódó gyermekgyógyászati vizsgálati terveknek nem feltétlenül kell minden korcsoportra kiterjedniük, ez azonban egyelőre korlátozott hatást ért el. Mindez lehetővé teheti ugyan a vállalatoknak, hogy a legfontosabb gyermekgyógyászati részterületekre összpontosítsák kutatásaikat, azonban magában hordozza annak kockázatát is, hogy tovább csökken a célpopuláció és a lehetséges bevétel.

A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek koncepciója hasonló problémákat hordoz magában, mint minden más olyan rendszer, amelynek célja a vállalatok ismert, hosszú ideje a piacon lévő vegyületek további kutatásába (más célra való felhasználásába) történő befektetésének ösztönzése. A gyógyszerfejlesztők attól tartanak, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek nem feltétlenül fogják megakadályozni sem azt, hogy az orvosok továbbra is azonos hatóanyagot tartalmazó, de más javallatokra engedélyezett versenytárs termékeket használjanak nem előírászerű módon, alacsonyabb költségen, sem pedig azt, hogy a gyógyszertárak szintjén az olcsóbb formákkal helyettesítsék termékeiket. Ezenkívül az egészségügyi ellátások költségeinek tagállami viselői általában hezitálnak, amikor az e termékek feláráról való megállapodásról van szó.

A kibocsátott gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek jelenlegi kis számára való tekintettel nem lehetséges sem e kockázatok megalapozottságát, sem a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek jutalomként történő kiállításának gazdasági értékét ellenőrizni. A rendelkezésre álló adatokból ugyan az derül ki, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély útján engedélyezett készítményeket számos tagállamban kedvező megtérítési döntések kísérték, és azok jó üzleti esettanulmányként szolgálnak, ám előfordulhat, hogy ezek képezik a kivételt a szabály alól, és mindezt részben az adott termék sajátosságai mozdították elő, nem pedig önmagában a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély koncepciója.

Ebből az látszik, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek kereskedelmi sikerességét összetett, uniós szinten aligha kezelhető tényezők befolyásolják. E tényezők a nemzeti szintű, lefelé irányuló döntéshozatalt érintik, amely az uniós jog hatályán kívül esik. A jogalkotói ösztönzők nem képesek kompenzációt nyújtani a gazdasági siker helyett. Egyes javaslatok szerint a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek hatékonyak lehetnek azokban az esetben, amikor gyermekspecifikus összetétel vagy adagolási forma szükséges, azonban bár ez a feltételezés elméletben helytálló, a tapasztalatok szerint a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély feltüntetése nem zárja ki teljes bizonyossággal azt, hogy az orvosok továbbra is nem gyermekek számára kialakított termékeket írjanak fel.

6. A GYERMEKGYÓGYÁSZATI FELHASZNÁLÁSRA SZÁNT ÚJ GYÓGYSZEREK KÖLTSÉGEI

A rendelet többletterhet ró a gyógyszerészeti vállalatokra azzal, hogy olyan gyermekgyógyászati kutatások végrehajtására kötelezi azokat, amelyeket egyébként nem végeztek volna el. A rendelet további befektetést és megfelelés-ellenőrzést követel meg. E kötelezettséget azonban a rendelet jutalomrendszerrel köti össze, amelynek keretében a

vállalatok számára hosszú védelmi időszakok során megtérülhetnek az annak következtében felmerült előzetes többletköltségek. E tekintetben az uniós rendszer különbözik az egyesült államokbelitől, ugyanis az Egyesült Államok Élelmiszer- és Gyógyszerügyi Hivatala (FDA) által támasztott gyermekgyógyászati követelmények teljesítéséért nem jár jutalom, kivéve abban az esetben, ha a vállalat önkéntes alapon folytat további kutatást az FDA „írásbeli kérésére”.

A jutalom onnantól kezdve válik elérhetővé, hogy a gyermekgyógyászati vizsgálati tervet végrehajtották, és annak eredményei megjelennek a megfelelő forgalombahozatali engedélyben. A vállalatok akkor is jogosultak a jutalomra, ha a gyermekgyógyászati vizsgálatok eredményei végső soron nem támasztják alá az adott vegyület gyermekgyógyászati felhasználását, hiszen a jutalom rendeltetésénél fogva a kutatásért, nem pedig egy meghatározott végkimenetelért nyújt kompenzációt. A rendelet két fő jutalmat különböztet meg: a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal és a ritka betegségek gyógyszerével kapcsolatos jutalmat. A két jutalom kölcsönösen kizárja egymást, és eltérő célokat szolgálnak, ugyanakkor mindkettő azzal a hatással jár, hogy késlelteti a versenytárs termékek piacra lépését. A jutalmak által biztosított többletbevételt így végső soron az egészségügyi ellátások költségeinek tagállami viselői, illetve a betegek fedezik, hiszen a társadalom szempontjából nem jelent előnyt a kizárólagosság meghosszabbításának időtartama alatt tapasztalható versenynövekedés és árcsökkenés.

A rendelet 36. cikke alapján a vállalat hat hónappal hosszabbíthatja meg a kiegészítő oltalmi tanúsítvány időtartamát. A kiegészítő oltalmi tanúsítvány egy alapszabadalom meglétéhez kötött önálló, *sui generis* jog. A forgalombahozatali engedély megszerzéséig tartó azon hosszú időszakért biztosít a szabadalmas számára kompenzációt, amelynek során az nem képes kereskedelmi szempontból hasznosítani a szabadalmat. A kiegészítő oltalmi tanúsítvány tehát egy szabadalmi joghoz hasonló pozíciót biztosít változó (nullától legfeljebb öt évig terjedő) időszakra. A kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom ezt az időszakot hosszabbítja meg, illetve válthatja pozitívvá, ha addig negatív volt¹². Érdekességgént megjegyezhető, hogy a jogalkotó a termék szabadalmi státuszához kötődő, külső jutalomrendszer alkalmazása mellett döntött egy gyógyszer-specifikus, szabályozói adatvédelmi jutalomrendszer helyett.

A ritka betegségek gyógyszerével kapcsolatos jutalom (37. cikk) a ritka betegségek gyógyszerei piaci kizárólagossági időtartamának két évvel, azaz legfeljebb 12 évre történő meghosszabbítását jelenti. A kifejezetten a ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó jutalom bevezetésének egyik oka az volt, hogy a rendeletre vonatkozó jogszabályjavaslat megvitatásának időpontjában a ritka betegségek gyógyszereiként megjelölt készítmények többsége lejárt szabadalommal rendelkezett. Ezért megfelelőnek ítélték egy alternatív jutalom biztosítását annak érdekében, hogy a ritka betegségek gyógyszereinek gyártói szintén részesülhessenek kompenzációban.

A rendeletben meghatározott rendszer azon a feltételezésen alapul, hogy a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek követelményének hatálya alá tartozó készítményeknek jogosultságot kell biztosítaniuk a jutalomra, amint a gyermekgyógyászati fejlesztés befejeződött. A valóságban azonban nem minden vállalat részesülhetett jutalomban. Az adatok alapján eddig a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek mindössze 55 %-a esetében kapták meg a vállalatok a jutalmat. Ez az

¹² Az Európai Bíróság ítélete a C-125/10 sz., Merck Sharp & Dohme kontra Deutsches Patent- und Markenamt ügyben, ECLI:EU:C:2011:812.

esetek többségében a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbításának formáját öltötte. Néhány esetben egy-egy ritka betegség gyógyszerének piaci kizárólagossági időtartamát hosszabbították meg. Ugyan várható, hogy az idő folyamán nőni fog a jutalomban részesülő készítmények aránya, ahogy a vállalatok elkezdik jobban és korábban megtervezni a gyógyszerészeti kutatásukat, valószínűtlen, hogy a sikerességi arány valaha is elérje a 100 %-ot.

6.1. A kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom

Gyakran a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbítását tekintik a legértékesebb jutalomnak. 2016 végéig több mint 40 gyógyszer részesült a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalomban, és a vállalatok tagállami szinten igényelték a megfelelő tanúsítványokat. A kiegészítő oltalmi tanúsítványok elmúlt 10 évben történt meghosszabbításainak száma (több mint 500) arra utal, hogy a vállalatok rendszeresen megkapják ezt a jutalmat attól a tagállami szabadalmi hivataltól, amelytől azt igénylik. Ez a jutalomrendszer működőképességére utal.

Ugyanakkor a külső, egy másik jogi eszközhöz kötődő jutalomrendszer alkalmazása komplikációkat és hatékonyságbeli elégtelenségeket is okoz. A kiegészítő oltalmi tanúsítványok például tagállami jogcímek, vagyis azok meghosszabbítását minden olyan tagállam szabadalmi hivatalától igényelni kell, amelyben az adott kiegészítő oltalmi tanúsítvány létezik, ami egyesek szerint túlzottan bonyolult eljárás.

Emellett a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbítását annak lejártá előtt két évvel kell igényelni. Bizonyos esetekben ez azzal a következménnyel járt, hogy a vállalatok nem részesültek a jutalomban, mert nem hajtották végre időben a gyermekgyógyászati vizsgálati tervet. Másrészről azonban ez a határidő a gyermekgyógyászati kutatás minél gyorsabb végrehajtására ösztönzi a vállalatokat, továbbá biztosítja, hogy a generikus versenytársak kellőképpen előre értesüljenek a védelmi időszak meghosszabbításáról, amely hatással lehet a generikus másolatok piacra lépésére.

A kiegészítő oltalmi tanúsítványokról szóló rendelet jelenleg a Bizottság által kezdeményezett értékelés alatt áll, amelynek célja az eszköz hasznosságának felmérése¹³. Az értékelés eredménye és a kiegészítő oltalmi tanúsítványok rendszerének jövőjére vonatkozó következmények még nem ismertek, de az elkövetkező hónapokban várhatóan rendelkezésre fognak állni. Az esetleges modernizálás vagy újralibrálás kezelheti a kiegészítő oltalmi tanúsítványok rendszerének bizonyos hatékonyságbeli hiányosságait, ugyanakkor közvetlen hatással lehet a gyermekgyógyászati jutalomrendszer működésére, és következésképpen magára a rendeletre is. Ezért fontos figyelembe venni ezen értékelés eredményeit a rendelettel kapcsolatos szakpolitikai döntések meghozatala során.

A kiegészítő oltalmi tanúsítványokkal kapcsolatos jutalmak pénzügyi értéke nagyrészt az adott termék által a kiegészítő oltalmi tanúsítvány általi védelem időtartama alatt termelt bevételtől függ. A generikus verseny kialakulását a termék egésze tekintetében (így a felnőttek körében történő alkalmazás vonatkozásában is) késleltetik, ami további többletbevételhez juttatja a forgalombahozatali engedély tulajdonosát az adott időszakra. Ez az időszak hagyományosan egybeesik az értékesítés csúcsideszakával. Ugyanakkor új

¹³ Belső Piaci, Ipar-, Vállalkozás- és Kkv-politikai Főigazgatóság, A belső piac kiegészítő oltalmi tanúsítványokkal és szabadalmi kutatási mentességekkel kapcsolatos iparjogvédelmi jogi keretrendszerének optimalizálása, 2017. 2. 16.

piaci trendek lerövidíthetik a bevételszerzési időszakot. A készítmény piaci helyzete idővel romolhat az új, innovatív, ugyanazon terápiás osztályba tartozó készítmények piaci megjelenése következtében.

A vállalatok által a jutalom következtében élvezett gazdasági előny megbecsléséhez először meg kell állapítani az azok részéről a gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek való megfelelés miatt felmerülő szabályozási költségeket. A Bizottság megbízásából készült külső tanulmány¹⁴ alapján a rendelet alkalmazásának teljes költsége az ágazat egészére vetítve évi 2,1 milliárd EUR-ra tehető. Ez az adat 85 tényleges gyermekgyógyászati vizsgálati terv adataiból való extrapoláció eredménye. Az átlagos kutatási-fejlesztési költségek gyermekgyógyászati vizsgálati tervenként 18,9 millió EUR-t tesznek ki úgy, hogy mindegyik terv átlagosan három klinikai vizsgálatot foglal magában. A vállalatok részéről ezenfelül körülbelül 720 000 EUR összegű általános költségek merülnek fel a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek eredeti benyújtása és az utólagos módosítások kapcsán.

Ugyan ezek az átlagadatok viszonylag robusztus mintanagyságon alapulnak, a túl-, illetve alulbecslés kockázata nem zárható ki teljes bizonyossággal. Ezenkívül az átlagokon alapuló becslésekből az következik, hogy vannak eltérések, különösen a kutatási-fejlesztési költségek legnagyobb hányadát kitevő klinikai vizsgálatok (II. és III. szakasz) költségei tekintetében¹⁵. Ennek ellenére ezek az adatok arra utalnak, hogy az ágazat által a rendelet alkalmazása következtében viselt többletköltségek csupán korlátozott mértékben növelik a gyógyszerfejlesztés teljes költségét.

E költségeknek a kiegészítő oltalmi tanúsítványokkal kapcsolatos jutalom értékével való összehasonlítása érdekében nyolc gyógyszerre kiterjedő konkrét elemzést végeztek. A kiválasztott gyógyszerek közé olyan készítmények tartoztak, amelyek kiegészítő oltalmi tanúsítványát meghosszabbították, majd az azok számára biztosított védelem 2014 vége előtt megszűnt. A mintanagyság természetesen meglehetősen kicsi, hiszen a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervvel rendelkező termékeknek eddig csupán kis hányada veszítette el a kizárólagossági jogát, és szolgál ezáltal adatokkal e bevételkiesés hatásáról. Bár az e termékekre vonatkozó adatokat adott esetben bizonyos mértékű óvatossággal kell értelmezni, tekintettel arra, hogy a vállalatok az első években a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbításával elérhető legmagasabb becsült megtérülést biztosító készítményeket részesíthették előnyben, azok mégis érdekes információkkal szolgálnak a jutalom gazdasági értékéről, ha a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbításával szerzett tényleges bevételt összehasonlítjuk a meghosszabbítás nélkül elérhető hipotetikus bevételekkel.

Az adatokból az derül ki, hogy a márkás termékek árainak esése sok esetben a kizárólagosság megszűnését követő első negyedévben kezdődik, ugyanakkor korlátozott mértékű (legfeljebb 20 %-os) marad, mielőtt további csökkenés következne be. Jelentős eltérések figyelhetők meg az egyes termékek és országok között, amelyek nagy valószínűséggel az adott terápiás piac versenyképességére, illetve a generikus készítményekkel való helyettesítés ösztönzésére irányuló tagállami szakpolitikákra vezethetők vissza, és amelyek a kiegészítő oltalmi tanúsítvány meghosszabbítása által biztosított, a teljes bevétel százalékos arányában kifejezett (10 és 93 % között mozgó)

¹⁴ Technopolis-tanulmány, 2. fejezet.

¹⁵ Technopolis-tanulmány, 2.2. fejezet.

gazdasági érték nagymértékű különbségeihez vezetnek. Általánosságban elmondható, hogy a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom kiigazított gazdasági értéke a nyolc vizsgált készítmény esetében 926 millió EUR, amelyen belül a bevételek különösen a mintában szereplő bizonyos, komoly pénzügyi sikert jelentő készítményekben összpontosulnak.

Ez az adat ugyan összehasonlítható a gyermekgyógyászati vizsgálati tervenkénti átlagos kutatási–fejlesztési költségekkel (18,9 millió EUR), azonban egy részletesebb megközelítés keretében a készítmények szintjén végezhető költség–haszon elemzés a nyolc fejlesztés tekintetében. Ez a társadalom és a gyermekegészségügy szempontjából a gyermekgyógyászati fejlesztés követelményének érvényesítése következtében jelentkező becsült haszon és az adott vállalat által a jutalomrendszer keretében megszerzett többletmonopoldíj társadalmi költségének összehasonlítását jelenti.

Az effajta összehasonlítás felderítő jellegű, mivel annak keretében pénzügyi értéket kell rendelni a gyermekek számára biztosított jobb kezelés, a nem előírászerű használat visszaszorítása, valamint az esetleges káros gyógyszer mellékhatások csökkentése formájában megjelenő pozitív hatáshoz. A gazdasági tanulmány keretében kidolgozott modell alapján 10 éves időszakra számítva a nyolc készítményből kettő határozottan kedvező költség–haszon aránnyal rendelkezik az egészségügyi rendszerek szempontjából, azaz azok esetében a társadalom és az egészségügy számára biztosított előnyök meghaladják a többletmonopoldíj jelentette többletköltségek mértékét. Az összes többi készítmény negatív költség–haszon aránnyal rendelkezik 10 év távlatában, különösen azok, amelyek esetében a gyermekgyógyászati vizsgálati terv végrehajtásának eredményeként nem született új gyermekgyógyászati javallat. Arról is hasznos ugyan bizonyosságot szerezni, hogy egy adott, felnőtteknek szánt készítmény a gyermekek körében nem használható, ezen információ gazdasági értéke mégis sokkal alacsonyabb, mint a beteg gyermekek számára új kezelési alternatívákat biztosító termékeké.

Ezek a készítményekre vonatkozó eredmények ugyanakkor kiigazításra szorulhatnak azon készítmények adataival, amelyeknek meg kellett felelniük a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekhez kapcsolódó követelménynek, de a vonatkozó időszakban nem részesültek jutalomban (ezek aránya 45 % körüli). Ezek értékes gyermekgyógyászati információkat tettek elérhetővé anélkül, hogy a társadalom többletmonopoldíjak formájában hozzájárult volna a felmerült költségek viseléséhez. E termékeket is figyelembe véve az eredmény javul, ám a költség–haszon arány még így is negatív marad.

A rendelet ezenkívül továbbgyűrűző gazdasági hatásokat is előidézhet az új és továbbfejlesztett gyógyszerekbe történő további kutatási–fejlesztési befektetések következtében, amelyek további befektetéseket ösztönöznek, valamint több ágazatban is hozzájárulnak a munkahelyteremtéshez, a növekedéshez és az innovációs tevékenységekhez. A gyermekgyógyászati kutatás–fejlesztésbe történő évi 2,1 milliárd EUR befektetés óvatosabb becslések szerint összesen körülbelül 6 milliárd EUR megtérülést hozhat a társadalom számára 10 év távlatában¹⁶. Ez a becsült társadalmi megtérülés jelentősen magasabb, mint a kiegészítő oltalmi tanúsítványok meghosszabbításának gazdasági értéke, ami arra utal, hogy pénzügyi szempontból a rendelet társadalmi haszna meghaladja a többletmonopoldíj költségét.

¹⁶ Technopolis-tanulmány, 6. fejezet.

6.2. A ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalom

Eddig hét készítmény részesült a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalomban, vagyis a piaci kizárólagosság két évvel történő meghosszabbításában, amelyek közül az első 2014-ben nyerte el a jutalmat. Bizonyos esetekben azonban a vállalatok önkéntesen mondtak le a ritka betegség gyógyszereként történő megjelölésről annak érdekében, hogy készítményük jogosult legyen a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalomra. Ennek lehetséges oka, hogy míg a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom az adott vegyülethez kapcsolódó teljes termékcsalád számára védelmet biztosít több különböző terápiás javallat tekintetében is, addig a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalom a ritka betegség gyógyszereként történő felhasználás védelmére korlátozódik. Ezért abban az esetben, ha az adott gyógyszer gyakori és ritka betegségek kezelésére egyaránt használható, a kiegészítő oltalmi tanúsítvány hat hónappal történő meghosszabbításából elérhető bevétel meghaladhatja azt, amely a ritka betegség vonatkozásában biztosított piaci kizárólagosság két évvel való meghosszabbításával érhető el.

Ebben közrejátszhat, hogy egyre több újonnan engedélyezett, ritka betegségek kezelésére szolgáló készítmény rendelkezik érvényes szabadalommal (ezek aránya jelenleg több mint 90 %), ami jó hír, ugyanis arra utal, hogy a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet által biztosított rendszer új kutatáson alapuló, innovatív termékeket vonz. Másrészt azonban rámutat a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalom egyik hiányosságára is, nevezetesen arra, hogy az elsősorban a lejárt szabadalmú készítményekre összpontosít, és nem rendelkezik kellő rugalmassággal ahhoz, hogy a vállalatok megőrizhessék a készítményük ritka betegség gyógyszereként fennálló státusát, miközben a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalmat választják.

Ebben a szakaszban, illetve további tanulmányok nélkül lehetetlen megbecsülni a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalom gazdasági előnyét a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutaloméhoz hasonló mintanagyság mellett, ugyanis a készítmények többsége továbbra is védelmet élvez. Ezért nem lehetséges elemezni a kizárólagosság elvesztésének a bevételekre gyakorolt tényleges hatását. Nem garantált például, hogy a generikus készítmények ugyanolyan ütemben jelennek meg a piacon, mint a nem ritka betegségek gyógyszerei esetében, vagy, hogy egyáltalán megjelennek a piacon, tekintve a betegség ritkaságát és a vonatkozó piac kis méretét. Mindazonáltal elképzelhető, hogy a gazdasági érték megbecsülhető egy, a kiegészítő oltalmi tanúsítvánnyal kapcsolatos jutalom esetében használthoz hasonló gazdasági modell alapján, azzal a fő eltéréssel, hogy a késés ez esetben hat hónap helyett két év.

7. HATÉKONYABB VÉGREHAJTÁS

A rendelet az EMA-ra és annak gyermekgyógyászati bizottságára ruházza a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek, halasztások és mentességek kezelésével kapcsolatos elsődleges felelősséget. Az EMA ezért kulcsszerepet játszik a rendelet végrehajtásában. Erőfeszítéseket tettek annak érdekében, hogy tanuljanak a végrehajtás első éveiből, és leegyszerűsítsék a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekkel kapcsolatos véleményeket annak érdekében, hogy csökkentsék a módosítás szükségességét, ha a programban nem lényeges változások történtek. Ezen erőfeszítéseknek köszönhetően sikerült csökkenteni a változások általános arányát, jóllehet az adatokból az derül ki, hogy átlagosan minden gyermekgyógyászati vizsgálati tervet legalább egyszer

módosítottak. Ennek leggyakoribb okai az ütemezésben (43 %), illetve a vizsgálatban részt vevő gyermekek számában (14 %) keresendők.

Ezenkívül a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek formájára és tartalmára vonatkozó bizottsági iránymutatás 2014-es felülvizsgálata¹⁷ során a tervek jóváhagyására irányuló folyamat egyszerűsítésére szolgáló intézkedéseket vezettek be. 2015-ben emellett az EMA kísérleti jelleggel korai együttműködési értekezletet tartott a vállalatokkal annak érdekében, hogy a gyermekgyógyászati igényeket már a gyógyszerfejlesztés korai szakaszaiba be tudják építeni. Az ennek során szerzett tapasztalatok alapján jelenleg folyamatban van a projektekre összpontosító fejlesztési megbeszélésekben való részvétel koncepciójának arra irányuló felülvizsgálata, hogy lehetővé tegyék a megfelelő ütemezéssel, valamint a gyermekgyógyászati intézkedéseknek a fejlesztés egészébe történő integrálásával kapcsolatos megbeszéléseket.

A termékekről a különböző bizottságok és munkacsoportok között azok saját feladatkörén belül folytatott megbeszélések és információcseré biztositása elengedhetetlen eleme az EMA koordinációs szerepének. A gyermekgyógyászati fejlesztés területén ez különösen a gyermekgyógyászati bizottság és más tudományos bizottságok vagy tanácsadó munkacsoportok közötti együttműködést érinti. Ezen együttműködés lehetővé tétele érdekében folyamatos fejlesztési tevékenységek zajlanak.

A régiók közötti együttműködés erősítése érdekében 2007-ben többek között az egyesült államokbeli FDA, valamint az EMA tagjainak részvételével vitafórumot hoztak létre („gyermekgyógyászati klaszter”), amelynek keretében rendszeres információcserét folytatnak elsősorban telefonkonferenciák formájában. A klaszterhez azóta megfigyelőként csatlakozott a Japán Gyógyszer- és Orvoseszköz-ügynökség (PMDA), a Kanadai Egészségügyi Minisztérium, valamint az Ausztráliai Terápiás Termékek Hivatala (TGA) is. 2013-ban az EMA és annak egyesült államokbeli társszerve ügynevezett „közös kommentárokat” indított az EMA-hoz és az FDA-hoz egyaránt benyújtott, tehát mindkét ügynökség által felülvizsgálandó gyermekgyógyászati fejlesztési tervekkel kapcsolatban. Ezek a kommentárok, valamint a két ügynökség között zajló megbeszélések ugyan nem hivatalosak és nem kötelező erejűek, mégis segítettek az álláspontok összehangolását és a gyermekgyógyászati fejlesztési programmal szemben támasztott követelmények ellentmondásainak elkerülését.

Ugyanakkor továbbra is kihívást jelent az EMA és annak gyermekgyógyászati bizottsága, valamint a vállalatok számára a gyógyszerfejlesztés kulcsfontosságú szempontjainak figyelembevétele úgy, hogy még nem állnak rendelkezésre bizonyos információk, továbbá a megbeszélések továbbra is feltételezéseken és hiányos adatokon alapulnak. Ez különösen igaz annak fényében, hogy a gyermekgyógyászati fejlesztési tervek célja jogbiztonságot teremteni a szabályozó hatóságok vállalatokkal szemben támasztott elvárásai tekintetében. Másrészt csakis a korai tervezés teheti lehetővé a gyermekgyógyászati fejlesztésnek a termékfejlesztés egészébe történő egységes integrációját, nem pedig az, ha csupán utólag foglalkoznak azzal. Elviekben ennek (költség)hatékonyabb kutatás–fejlesztést is kell eredményeznie, hiszen lehetővé teszi például a beteg gyermekek (például serdülők) felnőttekkel kapcsolatos vizsgálatokba, valamint az összetétel kifejlesztésére vonatkozó tervezés korai szakaszaiba történő bevonását, ami csökkentené az általános fejlesztési költségeket.

¹⁷ Iránymutatás a gyermekgyógyászati vizsgálati terv jóváhagyása vagy módosítása iránti kérelmek formájáról és tartalmáról, HL C 338., 2014.9.27., 1. o.

8. A GYERMEKEK KÖRÉBEN VÉGZETT KLINIKAI VIZSGÁLATOK SZÁMÁNAK NÖVEKEDÉSE

A rendelet célja biztosítani, hogy a gyógyszerek gyermekek körében történő alkalmazása előtt bizonyítékokat szerezzenek az adott készítmény minőségéről, biztonságosságáról és hatásosságáról. Ehhez több klinikai kutatást kell végezni a gyermekek körében a gyógyszerek engedélyezését megelőzően. A rendelkezésre álló adatok jelentős növekedésről tanúskodnak. Az EudraCT nevű európai klinikai vizsgálati adatbázisban szereplő klinikai vizsgálatok között a gyermekekre is kiterjedő vizsgálatok aránya 2007 és 2016 között 50 %-kal, 8,25 %-ról 12,4 %-ra nőtt. Ezenkívül számottevő növekedés történt a korábban elhanyagolt gyermekgyógyászati alpopulációkkal kapcsolatos kutatások terén is. A rendelet hatálybalépése előtt az újszülöttek körében végzett kutatások szinte teljesen hiányoztak a gyógyszerfejlesztés területén.

Általánosságban elmondható, hogy az uniós jogszabályok rendelkeznek a megfelelő eszközökkel annak biztosítására, hogy a gyermekgyógyászati kutatás tudományos szempontból megalapozott és etikailag kifogástalan legyen. Ezeket a szempontokat nemcsak az EMA gyermekgyógyászati bizottsága veszi figyelembe a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek értékelése során, hanem az egyes klinikai vizsgálatok engedélyezéséért felelős nemzeti etikai bizottságok és szabályozó hatóságok is.

A rendelet elősegítette a gyermekgyógyászati vizsgálatok optimális megtervezésével kapcsolatos szakértői eszmecsere kialakulását. E körben megemlíthetők a bevált gyakorlatok cseréjével kapcsolatos kezdeményezések, valamint az új tudományos iránymutatások kidolgozása. Közrejátszó tényező volt a kutatási hálózatokat felölelő EMA-hálózat (Enpr-EMA)¹⁸ létrehozása, amely sikeres munkájának köszönhetően – amerikai, kanadai, valamint japán nemzeti és több szakterületet felölelő hálózatok regisztrációjával – immár Európa határain kívülre is kiterjesztette tevékenységét.

Ösztönzést kapott az innovatív vizsgálati koncepciók további fejlesztése, valamint a vizsgálatokhoz szükséges résztvevők számának csökkentésére irányuló modellezési és szimulációs stratégiák kidolgozása is. A rendelet emellett felhívta a figyelmet a gyermekek kutatási döntéshozatalban vállalandó szerepével kapcsolatos vitára is. Az ezzel kapcsolatos kezdeményezések a fiatalokból összetevődő tanácsadó csoportok létrehozásától a betegek és szüleik klinikai vizsgálatokról történő megfelelő tájékoztatásával kapcsolatos megbeszéléseken át a gyakorlati kérdésekkel, például hozzájáruló űrlapokkal foglalkozó kezdeményezésekig terjednek.

A gyermekgyógyászati vizsgálatok ennek ellenére különös kihívásokat támasztanak. A résztvevők toborzásával kapcsolatos nehézségek például gyakran késleltetik a vizsgálatok elvégzését és befejezését. A gyermekgyógyászati vizsgálatok emellett jellemzően több központban zajló vizsgálatok, amelyek során néha egy-egy helyszínen csupán néhány beteget vizsgálnak, ez pedig működésbeli kihívásokkal járhat például a szükséges személyzet és szaktudás helyszíni biztosítása kapcsán. A gyermekgyógyászati klinikai vizsgálatok további infrastrukturális támogatása érdekében 2016 végén az innovatív gyógyszerek kutatására irányuló kezdeményezés – egy, a magán- és állami szféra közötti, uniós finanszírozású partnerség – keretében egy fenntartható, páneurópai

¹⁸ Az Európai Gyógyszerügynökségnél működő Európai Gyermekgyógyászati Kutatási Hálózat.

gyermekgyógyászati klinikai vizsgálati hálózat létrehozására irányuló projektet indítottak útjára¹⁹.

Ezenkívül az európai referenciahálózatok létrehozására irányuló közelmúltbeli kezdeményezése²⁰ révén a Bizottság Európa-szerte támogatja az egészségügyi szolgáltatók virtuális hálózatait a rendkívül speciális kezelést, valamint a tudás és az erőforrások koncentrációját igénylő összetett vagy ritka betegségek és állapotok kezelésében. A projektben részt vevő tematikus hálózatok közül egyesek kifejezetten ritka gyermekbetegségekkel foglalkoznak. Ezek előmozdítják majd az együttműködést, és utat nyitnak olyan további klinikai kutatásoknak, amelyek korábban nem lettek volna megvalósíthatók.

A rendelet összességében előmozdította a gyermekgyógyászati kutatást. Ugyanakkor elismert tény, hogy e kutatás a termékfejlesztésre irányul. Bizonyos betegségek, illetve terápiás területek esetében továbbra sem állnak rendelkezésre alapos ismeretek a vonatkozó betegségről. Éppen ezért hasznos lenne a magukra a betegségekre vonatkozó további alapkutatást végezni annak érdekében, hogy az lehetővé tegye és megalapozza a megfelelő termékfejlesztést. Ez a rendelet útján nem, csupán további, köz- és magánszférabeli erőfeszítések és finanszírozási források révén garantálható.

9. JÖVŐBELI KIHÍVÁSOK

A gyógyszerek kifejlesztésének módja a tudományos és technológiai fejlődés, valamint az üzleti modellek változása következtében idővel megváltozhat. A közelmúltban kialakult trendek közé tartozik a gyógyszerek rétegzett fejlesztése, illetve a személyre szabott orvoslás koncepciója, amelynek célja a gyógyszerek használatának azáltal történő optimalizálása, hogy azokat a betegek egyedi génjeihez igazítják, hogy a kezelés valóban hatásos legyen. Ezenkívül fokozódhat a terápiákat technológiafüggő betegtámogatás és szolgáltatások útján támogató technológiai cégek piacra lépése.

Ugyan ezen új fejlesztési paradigmák többsége teljes mértékben összeegyeztethetőnek tűnik a rendelet által bevezetett mechanizmusokkal, mégis hatással lehetnek a vállalatok befektetési prioritásokkal, valamint a klinikai vizsgálatok kialakításával kapcsolatos döntéshozatalára. Rövid távon ezek a trendek valószínűtlen, hogy érinteni fogják a rendeletet, mivel a fejlesztés késői szakaszában lévő új gyógyszerek száma a múltbeli adatok alapján magas, és az előrejelzések szerint 2021-ig évente várhatóan 45 új hatóanyag fog a piacra kerülni. Ugyanakkor a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek folyamatának kellő rugalmasságot kell biztosítania e trendek figyelembevételéhez, és egyúttal gondoskodnia kell arról, hogy a gyermekek teljes mértékben élvezhessék a kialakulóban lévő koncepciók, például a személyre szabott orvoslás nyújtotta előnyöket.

A részletek szintjén figyelembe kell venni azt is, hogy a rendelet végrehajtása nemcsak az EMA²¹, hanem a tagállamok részéről is komoly erőforrás-befektetést feltételez,

¹⁹ <https://www.imi.europa.eu/>.

²⁰ A határon átnyúló egészségügyi ellátás érvényesítéséről szóló 2011/24/EU irányelv 12. cikke alapján hozták létre, https://ec.europa.eu/health/cross_border_care/policy_hu.

²¹ A rendelet 48. cikkének megfelelően az EMA részére kifizetett uniós költségvetési hozzájárulásból az ügynökség gyógyszerészeti tevékenységeinek működését támogatják.

amelyeknek tagokat kell kinevezniük a gyermekgyógyászati bizottságba, valamint hozzá kell járulniuk a vállalatok által benyújtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek, illetve múltbeli vagy új gyermekgyógyászati vizsgálati eredmények értékeléséhez. A rendelet kimondja, hogy a kérelmezők díjmentesen vehetik igénybe ezeket az eljárásokat, ami a gyermekgyógyászati fejlesztés lehetővé tételével kapcsolatos ösztönzők részét képezi. Ugyan nincs arra utaló bizonyíték, hogy a díjmentesség az eddigiekben negatív hatást gyakorolt volna az értékelés minőségére, a rendszer megfelelő működésére gyakorolt hosszú távú hatás egyelőre nem ismert. Az EMA díjrendszerének folyamatban lévő értékelése során a Bizottság a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek értékelésének költségeit is ellenőrizni fogja.

10. KÖVETKEZTETÉS

A gyermekgyógyászati rendelet jelentős hatással volt a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek Európai Unión belüli fejlesztésére. Biztosította, hogy a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztése a gyógyszerfejlesztés egészének szerves részévé váljon. Ez az eredmény különös jogszabály elfogadása nélkül nem lett volna elérhető, és az eredmény kiemeli annak folyamatos relevanciáját. Ezenkívül a rendelet végrehajtásának javítása érdekében tett intézkedések az idő folyamán fokozták annak hatásosságát.

Gazdasági szempontból a rendelet összességében pozitív társadalmi–gazdasági eredményeket biztosított, ami igazolja e közvetlen, a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek rendelkezésre állásának javítására irányuló befektetés megfelelőségét. A kötelezettségek és jutalmak kombinációja úgy tűnik, hatékonyan mozdítja elő a hangsúly gyermekgyógyászati készítmények fejlesztésére történő áthelyezését. A jutalmak kihasználtsága ugyanakkor a végrehajtott gyermekgyógyászati vizsgálati tervek 55 %-ára koncentrált, és előfordult túl-, illetve alulkompensáció, ami kiemeli a jelenlegi rendszer bizonyos korlátait. Ezenkívül gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyek koncepciója és az ahhoz kapcsolódó különös jutalom nem váltotta be a hozzá fűzött reményeket.

A gyermekgyógyászati kutatás bővülése és a különös gyermekgyógyászati javallatokkal rendelkező új készítmények számának növekedése biztató, és biztosítani fogja, hogy idővel csökkenjen a felnőtteknek szánt gyógyszerek gyermekek körében történő, nem előírászerű használata. E pozitív eredmények azonban nem egyenletesen oszlanak meg az egyes terápiás területek között, hanem bizonyos területeken összpontosulnak, és gyakran függnek össze felnőttekkel, nem pedig gyermekekkel kapcsolatos kutatási prioritásokkal.

Ez arra utal, hogy a rendelet alkalmazása azokon a területeken a leghatékonyabb, ahol a beteg felnőttek és gyermekek igényei átfedésben vannak egymással. Különösen a ritka, illetve kizárólag gyermekekben előforduló betegségek körében fordul elő – amelyek kezelését sok esetben a ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó jogszabályok szintén támogatják –, hogy egyelőre elmaradtak a jelentős terápiás előrelépések. Ennek oka, valamint az, hogy a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos jutalom bizonyos esetekben miért nem képes ugyanolyan módon előmozdítani a gyermekgyógyászati fejlesztést, mint a felnőtteknek szánt, ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszerek fejlesztését, további vizsgálatot igényel.

Ezért a Bizottság – mielőtt bármilyen módosítási javaslatot nyújtana be – alaposabban meg kívánja vizsgálni a ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet és a gyermekgyógyászati rendelet együttes hatását e két, különös igényekkel rendelkező alpopulációknak szánt gyógyszerek fejlesztésének támogatására irányuló jogi eszköz együttes értékelésének keretében. Mivel az e jelentésben feltárt hiányosságok sok esetben ritka betegségnek minősülő gyermekbetegségekhez kapcsolódnak, kizárólag ezen összevont erőfeszítés révén biztosítható, hogy szükség esetén a megfelelő paramétereket igazítsák ki.

Ez a jelentés nem lezárja a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek és a ritka betegségek gyógyszereinek jövőbeli paramétereivel kapcsolatos közös elképzelésről szóló vitát, hanem annak egy létfontosságú köztes lépését képviseli. Az e folyamat támogatására szolgáló további értékelés célja, hogy 2019-ig eredményekkel szolgáljon, és ezzel lehetővé tegye a következő Bizottságnak, hogy megalapozott döntést hozzon a szakpolitikai lehetőségekről. Ezenkívül lehetővé teszi majd a kiegészítő oltalmi tanúsítványokra vonatkozó, a gyermekgyógyászati rendelet jövőjével kapcsolatos értékelés hamarosan rendelkezésre álló eredményeinek figyelembevételét.

A Bizottság addig is elkötelezett marad egy konkrét intézkedéseket magában foglaló, pozitív menetrend mellett annak érdekében, hogy az EMA-val²² együttműködve szükség szerint egyszerűsítse a jelenlegi alkalmazási és végrehajtási folyamatot. Ez többek között a következőket foglalja magában:

- az átláthatóság növelése a gyermekgyógyászati javallatokkal engedélyezett új készítmények tekintetében;
- a halasztások igénybevételével kapcsolatos tapasztalatok elemzése, valamint a gyakorlatok módosításának mérlegelése a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek gyorsabb végrehajtása érdekében;
- a folyamatok és elvárások felülvizsgálata a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekhez vonatkozó kérelmek kezelésének összefüggésében, és a megfelelő bizottsági iránymutatás szükség szerinti kiigazítása;
- a gyermekgyógyászati igények nyilvános és átlátható, az összes lényeges érintett fél – köztük a tudományos körök, az egészségügyi szolgáltatók, a szülők, illetve gondozók, a gyermekgyógyászati klinikai vizsgálati hálózatok, az iparági szereplők és a szabályozó hatóságok – részvételével folytatott párbeszéd keretében történő megvitatására nyitva álló lehetőségek feltárása;
- rendszeres tájékoztatás a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek uniós helyzetével kapcsolatos fejleményekről és trendekről; valamint
- a nemzetközi együttműködés és harmonizáció ösztönzése.

Ezenkívül olyan projekteken keresztül is tovább fogja támogatni a gyermekekkel kapcsolatos, magas színvonalú egészségügyi ellátást és kutatást, mint az egészségügyi szolgáltatók és szakértői központok között kapcsolatot teremtő európai referenciahálózatok. E hálózatok képesek lehetnek rövid távon jelentősen javítani a diagnosztizáláshoz és a kezeléshez való hozzáférést, valamint érdemi változást előidézni a gyermekek egészsége tekintetében.

²² Ebben az összefüggésben az EMA átköltöztetésének következtében adott esetben figyelembe kell venni a működés folytonosságával kapcsolatos prioritásokat.