



Bryssel 28.3.2014
COM(2014) 188 final

KOMISSION KERTOMUS EUROOPAN PARLAMENTILLE JA NEUVOSTOLLE

pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävistä lääkkeistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamisesta annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 1394/2007 25 artiklan mukaisesti

(ETA:n kannalta merkityksellinen teksti)

KOMISSION KERTOMUS EUROOPAN PARLAMENTILLE JA NEUVOSTOLLE

pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävistä lääkkeistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamisesta annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 1394/2007 25 artiklan mukaisesti

(ETA:n kannalta merkityksellinen teksti)

1. JOHDANTO

Tieteen kehityksen ansiosta on kehitetty uusi lääketyyppi, joka perustuu geeniterapiaan, somaattiseen soluterapiaan ja kudosuokkaukseen. Jotta niin kutsuttujen pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden, jäljempänä 'ATMP-lääkkeet', kaupan pitämiseksi voitiin tarjota yhteiset puitteet, vuonna 2007 annettiin Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1394/2007 pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävistä lääkkeistä, jäljempänä 'ATMP-asetus'¹.

ATMP-asetuksella oli tarkoitus varmistaa ihmisten terveyden korkeatasoinen suojeleminen ja ATMP-lääkkeiden vapaa liikkuvuus EU:ssa. Asetuksen kulmakivenä on se, että myyntilupa on hankittava ennen ATMP-lääkkeiden saattamista markkinoille. Myyntilupa voidaan puolestaan myöntää vain, jos laatu-, tehokkuus- ja turvallisuusprofiilin tieteellisen arvioinnin jälkeen osoitetaan, että hyödyt ovat riskejä suuremmat. Myyntilupahakemus on toimitettava Euroopan lääkevirastolle, jäljempänä 'virasto', ja lopullisen päätöksen tekee komissio. Tällä menettelyllä varmistetaan, että erityiselin (pitkälle kehitettyjä terapioiden käsittelevä komitea, jäljempänä 'CAT') arvioi kyseisiä tuotteita ja että myyntilupa on voimassa kaikissa EU:n jäsenvaltioissa.

ATMP-asetuksessa virastolle myönnettiin valtuudet antaa tieteellisiä suosituksia siitä, onko tiettyä tuotetta pidettävä ATMP-lääkkeenä, jäljempänä 'luokittelut'. Lisäksi siinä säädettiin uudesta välineestä, niin kutsutusta sertifiointimenettelystä, joka on tarkoitettu kannustimeksi pienille ja keskisuurille yrityksille, jäljempänä 'pk-yritykset', jotka ovat toteuttaneet ATMP-lääkkeiden kehittämisen ensimmäiset vaiheet mutta joilla ei ole ollut resursseja suorittaa kliinisiä tutkimuksia. Sertifiointilla, joka osoittaa, että kehittämisen laatuun liittyvät ja prekliiniset näkökohdat ovat asiaa koskevien säädettyjen vaatimusten mukaisia, oli erityisesti tarkoitus auttaa pk-yrityksiä hankkimaan pääomaa ja helpottaa tutkimustoimien siirtoa yksiköille, joilla on valmiudet pitää kaupan lääkkeitä.

ATMP-asetusta on sovellettu 30. joulukuuta 2008 alkaen. Asetuksen antamishetkellä EU:n markkinoilla jo olleille ATMP-lääkkeille myönnettiin kuitenkin siirtymäkausi. Geeniterapian ja somaattisen soluterapian oli oltava asetuksen mukaisia 30. joulukuuta 2011 mennessä, ja kudosuokkaustuotteiden oli täytettävä uudet vaatimukset 30. joulukuuta 2012 mennessä.

Tässä ATMP-asetuksen 25 artiklan mukaisesti laaditussa kertomuksessa komissio tarkastelee ATMP-lääkkeiden tilannetta EU:ssa ja analysoi asetuksen vaikutusta pitkälle kehitettyihin terapioihin. Kertomuksessa otetaan huomioon komission

¹ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1394/2007, annettu 13. marraskuuta 2007, pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävistä lääkkeistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamisesta (EUVL L 324, 10.12.2007, s. 121).

yksikköjen toteuttaman ATMP-asetuksen soveltamista koskevan julkisen kuulemisen (jäljempänä 'julkinen kuuleminen') tulokset.²

2. PITKÄLLE KEHITETTYJÄ TERAPIOITA KOSKEVIEN TUTKIMUS- JA KEHITYSTOIMIEN NYKYTILANNE EU:SSA

EU:ssa on tehty merkittävää tutkimusta pitkälle kehitettyjen terapioiden alalla. EudraCT-tietokannassa³ ilmoitettiin vuosina 2004–2010 jopa 250 erillistä ATMP-lääkettä.

Pienet yritykset ja voittoa tavoittelemattomat yksiköt tekevät valtaosan kehittyneitä terapioiden koskevasta tutkimuksesta. Näin ollen lähes 70 prosenttia EudraCT-tietokannassa mainituista ATMP-lääkkeistä koskevien kliinisten tutkimusten sponsoreista on voittoa tavoittelemattomia organisaatioita tai pk-yrityksiä, ja suurten lääkeyhtiöiden osuus on alle 2 prosenttia kaikista sponsoreista. Myös suurin osa CAT:lle toimitetuista tieteellistä neuvontaa koskevista hakemuksista on pk-yritysten jättämiä (ks. 3.5 jakso).

Tie tutkimustoiminnasta siihen vaiheeseen saakka, että lääke on potilaiden saatavilla, on yleisesti ottaen haasteellista. Ainoastaan pieni osa mahdollisina lääkkeinä tutkittavista molekyyleistä saa lopulta myyntiluvan. Valtaosa tutkittavista molekyyleistä ei etene edes ihmisillä testaamista koskevaan vaiheeseen erilaisista syistä (esim. siksi, ettei molekyylin oletettua toimintaa tai toimintamekanismia ole vahvistettu tai että prekliiniset tutkimukset osoittavat, ettei turvallisuusprofiili ole hyväksyttävä). Arvioiden mukaan keskimäärin alle neljännes kliinisissä tutkimuksissa testattavista molekyyleistä saa myyntiluvan. On tavanomaista, että vaikuttavan aineen tunnistamisen jälkeen voi kulua yli kymmenen vuotta, ennen kuin lääkkeelle myönnetään lupa.

Pitkälle kehitettyjen terapioiden erityisominaisuuksien vuoksi ATMP-lääkkeiden kehittäjillä on enemmän vaikeuksia. Esimerkiksi tuotteen homogeenisuutta on vaikea osoittaa lähtöaineiden vaihtelun vuoksi. Laajat testit voivat olla mahdottomia myös saatavilla olevien erien pienen koon ja lyhyiden kestoajkojen (muutamasta tunnista muutamaan päivään) vuoksi. Pistokokein tarkastettavia kliinisiä tutkimuksia ei voida myöskään välttämättä aina toteuttaa esimerkiksi siksi, että tuotteen annostelu edellyttää kirurgista toimenpidettä (valtaosa kudosuokkaustuotteista) tai ettei vaihtoehtoisia hoitoja ole saatavilla.

ATMP-lääkkeiden kehittämistä vaikeuttaa myös se, ettei tutkijoilla ole tavallisesti asianmukaista rahoitusta ja sääntelyä koskevaa asiantuntemusta, jotta he selviytyisivät menestyksekkäästi myyntilupamenettelyistä. Investoinnin tuottamaan tuottoon liittyvät epävarmuudet ovat puolestaan suuri pelote sijoittajille.

3. YLEISKATSAUS ATMP-ASETUKSEN SOVELTAMISESTA 1. TAMMIKUUTA 2009 JA 30. KESÄKUUTA 2013 VÄLISENÄ AIKANA

ATMP-lääkkeiden sääntely on ollut tärkeä askel potilaiden suojelussa tieteellisesti kestävämmiltä hoidoilta. ATMP-asetuksella luodaan myös yhteiset puitteet pitkälle kehitettyjen terapioiden arvioinnille EU:ssa.

² http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013_05_pc_atmp/2013_04_03_pc_summary.pdf

³ Tietokanta, joka sisältää kaikki EU:ssa 1. toukokuuta 2004 jälkeen aloitetut kliiniset tutkimukset.

Olemme vasta alussa pitkälle kehitettyjen terapioiden kehittämisessä, ja ainoastaan neljälle ATMP-lääkkeelle on myönnetty myyntilupa. CAT:n huomattavasti aktiivisempi toiminta tieteellisen neuvonnan ja luokittelun aloilla sekä ATMP-lääkkeiden kliinisten tutkimusten lisääntyminen ovat kuitenkin osoituksia dynaamisesta tutkimusalasta.

3.1. Erityiselin ja mukautettu sääntelykehys

Asetuksen 20 artiklassa säädetty CAT:n perustaminen on ollut tärkein virstanpylväs ATMP-asetuksen täytäntöönpanossa. Kyseisessä komiteassa EU:n parhaat saatavilla olevat asiantuntijat kokoontumat arvioimaan ATMP-lääkkeiden laatua, turvallisuutta ja tehokkuutta. Komitea piti ensimmäisen kokouksensa tammikuussa 2009. Marraskuussa 2010 perustettiin myös CAT:n ja lääkinnällisiä laitteita arvioivien ilmoitettujen laitosten yhteistyöryhmä CAT:n neuvoa-antavaksi ryhmäksi ATMP-yhdistelmä-lääkkeiden alalla.⁴

ATMP-asetuksessa myönnettiin komissiolle valtuudet mukauttaa ATMP-lääkkeiden myyntilupahakemusten sisältöä, hyviä tuotantotapoja, hyvää kliinistä tutkimustapaa ja jäljitettävyyttä koskevia erityisvaatimuksia. Direktiivin 2001/83/EY liitteen IV osaan 14. syyskuuta 2009 tehdyllä muutoksella mukautettiin joitakin ATMP-lääkkeiden myyntilupahakemusten sisältöä koskevia vaatimuksia.⁵ Lisäksi 31. tammikuuta 2013 alkaen on sovellettu hyviä tuotantotapoja koskevia tarkistettuja suuntaviivoja, joihin sisältyy erityisiä ATMP-lääkkeitä koskevia mukautuksia.⁶ Hyvää kliinistä tutkimustapaa ja jäljitettävyyttä koskevia erityisvaatimuksia ei ole kuitenkaan vielä hyväksytty, koska lisäkokemusta pidettiin tarpeellisena, jotta vaadittavien mukautusten tyyppi ymmärretään paremmin.⁷

Heinäkuun 24. päivänä 2009 annettuun komission asetukseen (EY) N:o 668/2009⁸ sisältyy sertifiointimenettelyä koskevia erityissäännöksiä.

3.2. Myyntiluvat

Virastolle oli toimitettu 30. kesäkuuta 2013 mennessä kymmenen ATMP-lääkkeiden myyntilupahakemusta. Viisi niistä koski aiemmin EU:n markkinoilla olleita tuotteita.

Kyseisistä kymmenestä myyntilupahakemuksesta seuraavien neljän tapauksessa menettely on saatettu menestyksekkäästi päätökseen ja komissio on myöntänyt myyntiluvan:

- **ChondroCelect** – kudosuokkaustuote, jota käytetään polven reisiluun nivelnastan oireisten rustovaurioiden korjaamiseen aikuisilla⁹

⁴ http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2010/12/WC500099532.pdf

⁵ Komission direktiivi 2009/120/EY ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön säännöistä annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivin 2001/83/EY muuttamisesta pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävien lääkkeiden osalta (EUVL L 242, 15.9.2009, s. 3).

⁶ http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-4/vol4-an2_2012-06_en.pdf

⁷ Komission yksiköt ovat kuitenkin julkaisseet joitakin ATMP-lääkkeiden hyvää kliinistä tutkimustapaa koskevia suosituksia (http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-10/2009_11_03_guideline.pdf).

⁸ Komission asetus (EY) N:o 668/2009 Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 1394/2007 muuttamisesta siltä osin kuin on kyse mikro-, pienten ja keskisuurten yritysten kehittämisiin pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettäviin lääkkeisiin liittyvien laatua koskevien ja eiklinisten tietojen arvioinnista ja sertifiointista (EUVL L 194, 25.7.2009, s. 7).

⁹ Myyntilupa myönnettiin 5. lokakuuta 2009 tehdyllä komission päätöksellä K(2009)7726.

- **Glybera** – geeniterapiassa käytettävä lääke aikuispotilaille, joilla on todettu perinnöllinen lipoproteiinilipaasin puutos (LPLD) ja joilla on ollut vaikeita tai useita haimatulehduksia ruokavalion rasvarajoituksesta huolimatta¹⁰
- **MACI** – ATMP-yhdistelmä lääke, jolla korjataan pinta-alaltaan 3–20 cm²:n suuruisia polven oireilevia, täysipaksuisia rustovaurioita (modifioidun Outerbridge-luokituksen III ja IV aste) aikuisilla potilailla, joiden luusto on täysin kehittynyt¹¹
- **Provence** – somaattisessa soluterapiassa käytettävä lääke, joka on tarkoitettu oireettoman tai vähäoireisen metastaatisen (ei viskeraalisen) kastroaatioreseptin eturauhassyövän hoitoon aikuisilla miehillä, joille kemoterapiaa ei ole vielä kliinisesti indikoitu.¹²

Neljä myyntilupahakemusta on sen sijaan hylätty. Yksi niistä koski tuotetta, joka oli markkinoilla ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa.

CAT:n arvioitavana oli 30. kesäkuuta 2013 kaksi myyntilupahakemusta.

3.3. Luokittelut

CAT oli 30. kesäkuuta 2013 mennessä vastaanottanut 87 pyyntöä ja antanut 81 luokittelusuositusta.¹³ Lähes puolet kaikista vastaanotetuista luokittelupyynnöistä oli peräisin pk-yrityksiltä ja 15 prosenttia voittoa tavoittelemattomalta sektorilta. Suurten lääkeyhtiöiden esittämien luokittelupyynnöiden osuus oli noin 5 prosenttia kaikista pyynnöistä.

3.4. Sertifiointit

Virastolle oli toimitettu 30. kesäkuuta 2013 mennessä ainoastaan kolme sertifiointipyyntöä. Kaksi niistä liittyi yksinomaan laatua koskeviin tietoihin, ja kolmas pyyntö koski muita kuin kliinisiä tietoja. CAT myönsi sertifiointin kaikissa kolmessa tapauksessa.

3.5. Tieteellinen neuvonta

Virasto oli antanut 30. kesäkuuta 2013 mennessä ATMP-lääkkeitä koskevaa tieteellistä neuvontaa 93 tapauksessa, ja neuvonta koski 65:tä eri tuotetta. Yli 60 prosenttia tieteellistä neuvontaa koskevista pyynnöistä oli peräisin pk-yrityksiltä ja 6 prosenttia tiedeyhteisöstä. Suurten lääkeyhtiöiden esittämien pyynnöiden osuus oli alle 10 prosenttia kaikista pyynnöistä.

Lisäksi on todettava, että seitsemän kymmenestä myyntiluvan hakijoista oli aiemmin pyytänyt tieteellistä neuvontaa.

4. ANALYYSI

ATMP-asetuksen myötävaikutusta kansanterveyteen voidaan arvioida kahden seuraavan parametrin perusteella: 1) EU:ssa saataville tulleiden uusien ATMP-lääkkeiden määrä ja 2) luvan saaneiden ATMP-lääkkeiden tehokkuus ja turvallisuus.

¹⁰ Myyntilupa myönnettiin 25.10.2012 tehdyllä komission päätöksellä K(2012)7708.

¹¹ Myyntilupa myönnettiin 27.6.2013 tehdyllä komission päätöksellä K(2013)4190.

¹² Myyntilupa myönnettiin 6.9.2013 tehdyllä komission päätöksellä K(2013)5841.

¹³ Kuuden muun hakemuksen kohdalla luokittelumenettely oli kesken.

Vaikka ei ole merkkejä siitä, etteivät ATMP-asetuksessa säädetyt edellytykset ole riittävän tiukkoja luvan saaneiden tuotteiden hyvän laatu-, tehokkuus- ja turvallisuusprofiilin varmistamiseen, on pohdittava, heikentääkö tuotteiden, joilla on ATMP-lääkkeiden ominaispiirteitä, kaupan pitäminen ATMP-asetuksen ulkopuolella (esim. kudoksiin ja soluihin tai lääkinnällisiin laitteisiin sovellettavan sääntelykehysten perusteella) asetuksen tavoitteena olevaa kansanterveyden korkeatasoista suojelua.

Lisäksi on mietittävä, voidaanko edistää yhä useampien ATMP-lääkkeiden asettamista potilaiden saataville.

4.1. ATMP-asetuksen vaikutus olemassa olevien ATMP-lääkkeiden saatavuuteen

4.1.1 EU:ssa ennen ATMP-asetusta saatavilla olleet pitkälle kehitetyt terapiat

On ollut vaikea saada tarkkoja lukuja EU:n markkinoilla ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa saatavilla olleiden ATMP-lääkkeiden määrästä. Tämä voi johtua osittain ATMP-lääkkeen määritelmään liittyvistä luontaisista vaikeuksista (ks. 4.3 jakso).

Jäsenvaltiot ovat ilmoittaneet 31 ATMP-lääkettä, jotka olivat laillisesti EU:n markkinoilla ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa.¹⁴ Tähän lukuun on syytä suhtautua varovaisesti, koska yhtäältä useampi jäsenvaltio on voinut ilmoittaa saman tuotteen ja toisaalta kaikki jäsenvaltiot eivät ole pystyneet ilmoittamaan kyseistä tietoa. Jäsenvaltioiden ilmoittamat luvut saattavat olla myös epätäydellisiä, koska jotkin tuotteet on voitu saattaa markkinoille kudoksina/soluina tai lääkinnällisinä laitteina, vaikka ne voisivat kuulua ATMP-lääkkeen määritelmän soveltamisalaan.

On syytä panna merkille, että jotkin jäsenvaltiot ovat ilmoittaneet, ettei niiden alueella ollut ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa saatavilla yhtään ATMP-lääkettä, ja että se, ettei kyseisiä tuotteita ole saatavilla, on yleisempää pienemmissä jäsenvaltioissa.

4.1.2 Pitkälle kehitetyt terapiat ATMP-asetuksen voimaantulon jälkeen

Viraston vastaanottamien myyntilupahakemusten vähäinen määrä (ks. 3.2 jakso) osoittaa, että huomattavan monet ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa markkinoilla olleiden ATMP-lääkkeiden kehittäjät eivät hakeneet myyntilupaa.

Jäsenvaltioiden ilmoittamien tietojen mukaan huhtikuuhun 2012 mennessä oli myönnetty noin 60 poikkeusta velvoitteesta hankkia myyntilupa ennen pitkälle kehitettyjen terapioiden markkinoille saattamista.¹⁵ Poikkeuksia myönnettiin direktiivin 2001/83 3 artiklan 7 kohdan nojalla (niin kutsuttu sairaalapoikkeus) ja saman direktiivin muiden säännösten, erityisesti 5 artiklan, nojalla.¹⁶

ATMP-asetuksen voimaantulon vaikutuksia aiemmin saatavilla olleiden hoitojen saatavuuteen on näin ollen vaikea osoittaa käytännössä:

Yhtäältä huomattavan monia olemassa olevia ATMP-lääkkeitä käytetään edelleen myyntiluvan puuttuessa jäsenvaltioiden myöntämien poikkeusten (sairalapoikkeus tai muut poikkeukset) nojalla.

¹⁴ EMA:n vuosina 2007 ja 2009 toteuttamista kyselyistä kootut tiedot.

¹⁵ http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013_05_pc_atmp/07_2_pc_atmp_2013.pdf

¹⁶ Direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdassa säädetään, että jäsenvaltio voi olla soveltamatta tämän direktiivin säännöksiä lääkkeeseen, joka on valmistettu laillistetun terveydenhuollon ammattihenkilön antamien ohjeiden mukaisesti ja tarkoitettu hänen välittömällä henkilökohtaisella vastuullaan yksittäiselle potilaalle ja joka toimitetaan vilpittömässä mielessä vapaaehtoisesti tehtyä tilausta vastaan.

Toisaalta valtaosa ATMP-lääkkeistä, joiden jäsenvaltiot ilmoittivat olleen alueensa markkinoilla ennen ATMP-asetuksen voimaantuloa, oli kondrosyyttejä sisältäviä tuotteita (16 kaikkiaan 31:stä). Koska ATMP-asetuksen nojalla myönnettävä myyntilupa on voimassa kaikissa jäsenvaltioissa ja koska kondrosyyttejä sisältäville tuotteille on myönnetty kaksi myyntilupaa, ATMP-asetuksen soveltaminen on voinut tosiasiallisesti johtaa siihen, että kyseisiä tuotteita on saatavilla aiempaa laajemmin EU:n alueella.

4.2. Sairaalapoikkeus

ATMP-asetuksen nojalla jäsenvaltiot voivat myyntiluvan puuttuessa myöntää luvan muuten kuin rutiinomaisesti yksilölliseen käyttöön valmistettujen ATMP-lääkkeiden käyttöön, jos tuotetta käytetään sairaalassa yksittäisillä potilailla lääkärin ammatillisen vastuun alaisuudessa.¹⁷ Tämä niin kutsuttu sairaalapoikkeus edellyttää, että tällaisissa tapauksissa sovelletaan luvan saaneisiin lääkkeisiin sovellettavia vaatimuksia vastaavia laatua, jäljitettävyyttä ja lääketurvatoimintaa koskevia kansallisia vaatimuksia.

Sairaalapoikkeus mahdollistaa ATMP-lääkkeen antamisen potilaille valvotuissa olosuhteissa, jos luvan saanutta lääkettä ei ole saatavilla. Lisäksi se helpottaa pitkälle kehitettyjen terapioiden tutkimusta ja kehittämistä voittoa tavoittelemattomissa organisaatioissa (kuten tiedeyhteisössä ja sairaaloissa) ja voi olla arvokas keino saada tietoa ennen myyntiluvan hakemista.

Asetuksen voimaantulosta lähtien saatu kokemus kuitenkin osoittaa, että sairaalapoikkeuksen liian laaja käyttö voi vähentää myyntilupahakemuksia. Myyntiluvan saaneilla ATMP-lääkkeillä on etenkin suuremmat kehitys- ja ylläpitokustannukset kuin sairaalapoikkeuksen nojalla saataville asetettavilla ATMP-lääkkeillä, koska myyntilupaan liittyy tiukemmat tietovaatimukset ja markkinoille saattamisen jälkeiset velvoitteet. Myyntilupaa hakevat kehittäjät saatetaan näin ollen epäedullisempaan kilpailuasemaan tuotteita sairaalapoikkeuksen nojalla kaupan pitäviin nähden.

Sairaalapoikkeuksen muodostuminen tavanomaiseksi reitiksi pitää kaupan pitkälle kehitettyjä terapioiden vaikutuksia haitallisesti kansanterveyteen. Ensinnäkin kliiniset tutkimukset ovat edelleen pääasiallinen keino saada luotettavaa tietoa lääkkeen tehokkuus- ja turvallisuusprofiilista, ja monimutkaisten lääkkeiden systemaattinen annostelu potilaille ilman asianmukaisia kliinisiä tutkimuksia voisi aiheuttaa riskin potilaalle. Toiseksi hoidon tehokkuutta ja turvallisuutta koskevien tietojen keruu heikentyisi vakavasti, koska kukin paikka tuottaisi ainoastaan pientä potilasmäärää koskevia tietoja eikä tietoja toimitettaisi toisen sellaisen jäsenvaltion viranomaisille, jossa samantyyppistä tuotetta saatetaan käyttää samoin sairaalapoikkeuksen nojalla. Kyseinen hoito ei myöskään olisi kaikkien potilaiden saatavilla EU:ssa.

Näin ollen on tärkeää saattaa keskenään tasapainoon tarve varmistaa ATMP-lääkkeiden asettaminen potilaiden saataville vasta niiden laadun, tehokkuuden ja turvallisuuden asianmukaisen osoittamisen jälkeen sekä tarve helpottaa uusien hoitojen saantia varhaisessa vaiheessa, jos lääketieteelliset tarpeet eivät ole täytyneet.

Julkisessa kuulemisessa oltiin huolissaan myös siitä, ettei jäsenvaltioiden poikkeuksen soveltamiselle asettamia edellytyksiä ole yhdenmukaistettu. Kyseistä poikkeusta käytetään jäsenvaltioissa hyvin eri tavoin osittain ilmaisun ”muuten kuin

¹⁷

ATMP-asetuksen 28 artiklan 2 kohta, jolla muutettiin direktiivin 2001/83 3 artikla.

rutiininomaisesti” merkitystä koskevien erilaisten lähestymistapojen vuoksi. Esimerkiksi joissakin jäsenvaltioissa, joissa potilaiden enimmäismäärä on vahvistettu, käsitettä ”muuten kuin rutiininomaisesti” tulkitaan suppeasti, ja toisissa jäsenvaltioissa ei ole määritetty mitään rajaa, vaan poikkeusta sovelletaan tapauskohtaisesti.

Selkeyttämällä sairaalapoikkeuksen soveltamisedellytyksiä ja niihin liittyviä vaatimuksia voitaisiin parantaa pitkälle kehitettyjen terapioiden sisämarkkinoiden toimintaa. Tässä yhteydessä olisi pohdittava asianmukaisesti tulosten, erityisesti kielteisten tulosten, raportointia, jotta potilaat eivät altistu tarpeettomasti vaarallisille/tehottomille hoidolle.

Selkeyttämisestä voisi olla hyötyä myös seuraavissa asioissa:

- muiden kuin sairaalapoikkeusta koskevien direktiivin 2001/83/EY poikkeussäännösten (erityisesti 5 artiklan 1 kohdan) merkitys ATMP-lääkkeiden yhteydessä
- sairaalapoikkeuksen soveltamisalaan kuuluvan tuotteen käytöstä luotujen tietojen merkitys myyntilupahakemuksen yhteydessä.

4.3. Asetuksen soveltamisala ja ATMP-lääkkeiden luokittelu

4.3.1. ATMP-asetuksen soveltamisala

ATMP-lääkkeinä pidetään seuraavia kolmea lääketyyppiä: geeniterapiat, somaattiset soluterapiat ja kudostuotteet. Sen arviointi, kuuluuko tuote johonkin edellä mainituista luokista, voi edellyttää monimutkaisia tieteellisiä arviointeja. Voi olla vaikea vastata erityisesti siihen, onko elävän materiaalin käsittelyä pidettävä merkittävänä muokkauksena. Myös kysymys siitä, onko soluja tai kudoksia tarkoitus käyttää samaan toimintoon vastaanottajassa kuin luovuttajassa, voi olla haasteellinen joissakin tapauksissa (esim. luuydinmateriaalin yhteydessä).

CAT:n kokemus ATMP-lääkkeiden eri luokkien määritelmien soveltamisesta osoittaa, että määritelmän joitakin näkökohtia voitaisiin vielä selkeyttää, jotta voidaan varmistaa oikeudellisten määritelmien parempi soveltuminen yhteen taustalla olevan tieteellisen todellisuuden kanssa.

Koska pitkälle kehitettyjen terapioiden alalla tapahtuu nopeaa tieteellistä kehitystä, geeniterapioiden, somaattisten soluterapioiden ja kudostuotteiden määritelmiä on lisäksi tärkeää arvioida jatkuvasti. Koko ajan kehitetään uusia innovatiivisia tuotteita, jotka eivät kuulu selkeästi nykyisten säännösten soveltamisalaan. Esimerkiksi sellaisten laitteiden kehittäminen, jotka mahdollistavat solujen tai kudosten keruun, käsittelyn suljetussa ympäristössä ja uudelleeninjektioon luovuttajaan samalla menetelmällä herättää kysymyksiä siitä, miten tällaisia hoitoja olisi säänneltävä (erityisesti muun kuin homologisen käytön tapauksessa).

4.3.2. Luokittelu

Yhä useammilla innovatiivisilla biologisilla tuotteilla on ominaispiirteitä, jotka voisivat kuulua useamman eri sääntelyjärjestelmän soveltamisalaan (esim. lääkkeet, lääkinnälliset laitteet, kosmeettiset valmisteet tai kudokset ja solut). Uusiin tuotteisiin sovellettava sääntelyjärjestelmä on tärkeää selvittää, jotta saavutetaan riittävä kansanterveyden suojelun taso. Kehittäjillä on oltava selkeä käsitys myös heidän tuotteisiinsa sovellettavasta sääntelykehyksestä, jotta kehitysprosessi voidaan mukauttaa asiaa koskeviin vaatimuksiin.

On kuitenkin ilmoitettu tapauksista, joissa jäsenvaltioiden toimivaltaiset viranomaiset olivat tehneet erilaisia päätelmiä siitä, onko tuotetta pidettävä ATMP-lääkkeenä. EU:ssa esiintyvät ATMP-lääkkeiden luokittelua koskevat erot todettiin huolenaiheeksi myös julkisessa kuulemisessa, jonka komission yksiköt toteuttivat tämä kertomuksen laadinnan yhteydessä.

Se, että samaan tuotteeseen saatetaan soveltaa erilaisia vaatimuksia EU:ssa, tarkoittaa, että kansanterveyden suojelun taso vaihtelee potilaan asuinpaikan mukaan. Se, että samaa tuotetta voidaan pitää kaupan eri sääntelyjärjestelmien nojalla, on haitallista kansanterveyden näkökulmasta, ja se myös heikentää kannustimia kehittää ATMP-lääkkeitä. Ensinnäkin epävarmuus tuotteen markkinapotentiaalista estää investointeja. Toiseksi saman tuotteen erilainen luokittelu vääristää kehittäjien välistä kilpailua. Erilaisten sääntelyjärjestelmien soveltaminen EU:ssa estää myös kyseisten tuotteiden vapaan liikkuvuuden.

ATMP-asetuksessa viraston tehtäväksi osoitettiin tieteellisten suositusten antaminen pitkälle kehitetyn terapian luokitteluista. Neuvontaa annetaan maksutta, eikä se ole sitovaa.

ATMP-asetuksessa säädetyllä luokittelujärjestelmällä on osoitettu olevan kaksi vahvuutta. Ensinnäkin keskitetyllä arvioinnilla varmistetaan yhtenäinen näkökanta koko EU:ssa ja luodaan varmuutta. Toiseksi tämän palvelun maksuttomuus on saanut pienet yritykset käyttämään kyseistä järjestelmää (ks. 3.3 jakso). Komissio pitää tätä myönteisenä tuloksena, koska se voi auttaa varmistamaan kyseisten tuotteiden kehitysprosessin suunnittelun varhaisessa vaiheessa siten, että maksimoidaan mahdollisuudet saada myyntilupa.

Nykyisessä luokittelujärjestelmässä on kuitenkin myös joitakin puutteita. Ensinnäkin kehittäjä, joka päättää pitää tuotetta kaupan tuottamatta tehokkuutta ja turvallisuutta koskevia tietoja ja/tai täyttämättä lääkkeisiin tavallisesti sovellettavia laatua ja lääketurvatoimintaa koskevia vaatimuksia, voi jättää ottamatta huomioon CAT:n päätelmän, jonka mukaan tuote on ATMP-lääke. Toinen nykyisen järjestelmän rajoitus on se, etteivät jäsenvaltioiden toimivaltaiset viranomaiset voi pyytää CAT:n näkemystä pohtiessaan, onko tuotetta pidettävä ATMP-lääkkeenä.

4.4. ATMP-lääkkeiden myyntilupaa koskevat vaatimukset

4.4.1. Yleisiä näkökohtia

ATMP-asetus perustuu kemikaalipohjaisille lääkkeille tarkoitettuihin menettelyihin, käsitteisiin ja vaatimuksiin. ATMP-lääkkeillä on kuitenkin hyvin erilaisia ominaispiirteitä. Lisäksi toisin kuin kemikaalipohjaisten lääkkeiden tapauksessa, pitkälle kehitettyjä terapioiden koskevan tutkimuksen tekevät enimmäkseen tiedeyhteisö, voittoa tavoittelemattomat organisaatiot ja pk-yritykset, joilla on pienet taloudelliset resurssit ja joihin ei usein sovelleta lääkkeitä koskevaa sääntelyjärjestelmää.

Komission direktiivissä 2009/120/EY säädetään sellaisia tietoja koskevista mukautetuista vaatimuksista, jotka hakijoiden on toimitettava hakiessaan ATMP-lääkkeen myyntilupaa. Lisäksi annetaan mahdollisuus soveltaa riskianalyysiin perustuvaa lähestymistapaa laatua koskevien, ei-kliinisten ja kliinisten tietojen laajuuden määrittämiseksi.

Julkinen kuuleminen kuitenkin osoittaa, että erityisesti laadun yhteydessä toivotaan laajalti lisää joustavuutta, jotta voidaan varmistaa, että myyntilupahakemusta koskevissa vaatimuksissa otetaan asianmukaisesti huomioon ATMP-lääkkeiden

tieteellinen kehitys ja erityisominaisuudet. Tätä mieltä ovat olleet vastaajat, jotka edustavat teollisuutta, potilaita, sairaaloita, tiedeyhteisöä ja voittoa tavoittelemattomia organisaatioita.

Mahdollisten laatu- tai tehokkuus-/turvallisuustietoja koskevien vaatimusten erityismukautusten lisäksi on ehdotettu, että tutkitaan myös sääntelykustannusten pienentämiseksi sallittavia vaihtoehtoisia lähestymistapoja, jotta pitkälle kehitetyille terapioille voidaan antaa alkusysäys. Näin ollen useat julkiseen kuulemiseen vastanneet ehdottivat, että erityisesti tapauksissa, joissa lääketieteelliset tarpeet eivät ole täyttyneet, otetaan käyttöön vähäisten tietojen perusteella myönnettävä rajoitetusti käytettävä myyntilupa. Rajoitetusta käytöstä kerättyjä tietoja voitaisiin käyttää myöhemmin myyntiluvan laajentamiseen tavanomaiseksi luvaksi.

4.4.2. *Autologiset ATMP-lääkkeet*

Autologisten tuotteiden tapauksessa potilaasta kerätään soluja/kudoksia, joita käsitellään tai laajennetaan ja jotka lopuksi viedään takaisin samaan potilaaseen. Lähtöaine (solut/kudokset) on erilainen jokaisella potilaalla, minkä vuoksi kyseisten tuotteiden valmistusprosessissa on erityispiirteitä muihin lääkkeisiin verrattuna.

Kaikkien autologisten tuotteiden valmistukseen ei liity kuitenkaan samoja haasteita. Tästä syystä on asianmukaista erottaa toisistaan kaksi eri tapausta. Yhtäältä on autologisia tuotteita, joissa potilaan solut/kudokset kuljetetaan lääkeyhtiöön, josta lopullinen lääke toimitetaan takaisin sairaalaan implantoitavaksi/injektoitavaksi samaan potilaaseen. Keskitetyn myyntiluvan saaneet ChondroCelect, MACI ja Provenge ovat esimerkkejä tällaisista autologisista ATMP-lääkkeistä. Toisaalta on tapauksia, joissa potilaan soluja/kudoksia käsitellään sairaalassa (esim. solujen erottamiseen ja käsittelyyn kehitetyillä lääkinnällisillä laitteilla) ennen uudelleenannostelua samaan potilaaseen.

Julkisessa kuulemisessa jotkut vastaajat katsoivat, ettei autologisia ATMP-lääkkeitä pitäisi säännellä lääkkeinä. Tällainen lähestymistapa vähentäisi kyseisten tuotteiden käyttöön liittyviä kehityskustannuksia, mutta komission mielestä tarve varmistaa riittävä kansanterveyden suojelun taso olisi asetettava etusijalle taloudellisiin näkökohtiin nähden.

Sääntelemällä kyseisiä tuotteita lääkkeinä varmistetaan, että riippumaton pitkälle erikoistunut elin on pitänyt niiden riski-hyötysuhdetta positiivisena, että potilaita seurataan hoidon jälkeen ja että terveydenhuollon ammattihenkilöt voivat tuntea hoidon pysyvät vaikutukset (paitsi turvallisuuden myös tehokkuuden kannalta).

On kuitenkin tärkeää, että autologisiin tuotteisiin sovellettavat vaatimukset ovat oikeasuhteisia ja mukautettu tuotteiden erityisominaisuuksiin. Edellyttämällä, että sairaalassa ennen potilaaseen annostelemista valmistetut autologiset tuotteet täyttävät kemikaalipohjaisiin vakiolääkkeisiin sovellettavat laadunvalvonta- ja valmistusvaatimukset, estettäisiin käytännössä tällaisten hoitojen kehittäminen, koska tällöin vaadittaisiin hoitokohtainen erän luovutusta koskeva todistus ja sairaalakohtainen valmistuslisenssi.

4.4.3. *ATMP-yhdistelmä-lääkkeet*

ATMP-yhdistelmä-lääke on ATMP-lääke, joka sisältää eläviä soluja tai kudoksia ja johon sisältyy tuotteen olennaisena osana vähintään yksi lääkinnällinen laite. Myös sellaiset ATMP-lääkkeet, joihin sisältyy laite mutta jotka sisältävät elottomia soluja tai kudoksia, ovat ATMP-yhdistelmä-lääkkeitä, jos solujen/kudosten vaikutus ihmiskehoon on laitteen vaikutukseen verrattuna merkittävämpi.

Nykyisten sääntöjen mukaan CAT suorittaa ATMP-yhdistelmä lääkkeen lopullisen tieteellisen arvioinnin. Laitteen osan kohdalla viraston on kuitenkin luotettava ilmoitettujen laitosten tekemään arviointiin (jos sellainen on saatavilla). Jos ilmoitettujen laitosten tekemää arviointia ei ole saatavilla, viraston on lähtökohtaisesti kuultavan jotakin tällaista laitosta, ellei CAT pidä sitä tarpeettomana.

Julkinen kuuleminen osoitti, että lääkinnällisen laitteen ja lääkkeen erillistä arviointia pidetään laajalti kohtuuttomana rasitteena, jos laitetta ei pidetä kaupan erikseen. Näin ollen kannatettiin voimakkaasti periaatetta, jonka mukaan ATMP-lääkkeille tehdään yksi (CAT:n suorittaman) arviointi, jos laite on tuotteen olennainen osa (tämä koskee siis kaikkia ATMP-yhdistelmä lääkkeitä). Lisäksi julkisessa kuulemisessa ilmeni, että sidosryhmien on vaikea ymmärtää viraston ja ilmoitettujen laitosten välistä vuorovaikutusta käytännössä.

Riskiksi todettiin myös se, että nykyinen toimintakehys kannustaa kehittäjiä mieluummin käyttämään jo luvan saaneita lääkinnällisiä laitteita (vaikka käyttö ATMP-yhdistelmä lääkkeessä poikkeaisi laitteen aiotusta käytöstä) kuin kehittämään uusia, paremmin kohdennettuja laitteita. Tällainen toimintatapa voi johtua käsityksestä, että CE-merkinnän saaneen laitteen valinta helpottaa sääntelymenettelyä.

4.5. Myyntilupamenettely

ATMP-asetuksessa edellytetään, että pitkälle kehitettyjen terapioiden myyntilupahakemukset toimitetaan virastolle. Niiden tieteelliseen arviointiin osallistuu enintään viisi komiteaa seuraavasti:

- i) CAT arvioi myyntilupahakemuksen ja antaa lausuntonsa ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevälle komitealle, jäljempänä 'CHMP'.
- ii) CHMP antaa lausunnon, joka toimitetaan komissiolle.
- iii) Lääketurvallisuuden riskinarviointikomitea (PRAC) antaa CHMP:lle suosituksia lääketurvatoimintaan liittyvistä asioista.
- iv) Lastenlääkekomitea (PDCO) puuttuu näkökohtiin, jotka liittyvät Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksessa (EY) N:o 1901/2006¹⁸ asetettuihin velvoitteisiin.
- v) Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea (COMP) antaa komissiolle tieteellisiä lausuntoja näkökohdista, jotka liittyvät harvinaislääkkeitä koskevien kannustimien soveltamiseen (kyseinen komitea osallistuu menettelyyn vain, jos hakija hakee harvinaislääkkeen asemaa).

Nykyisen myyntilupamenettelyn hallinnointi on osoittautunut käytännössä monimutkaiseksi, ja se on lisäksi haasteellinen mahdollisille hakijoille, jotka ovat tavallisesti yksikköjä, joihin ei sovelleta keskitettyä myyntilupamenettelyä. Tässä yhteydessä julkinen kuuleminen osoitti, että virastossa toteutettavaa ATMP-lääkkeiden arviointimenettelyä pidetään liian vaivalloisena erityisesti pk-yrityksille ja voittoa tavoittelemattomille organisaatioille.

Lyhyesti sanoen ATMP-asetuksen voimaantulosta lähtien saatu kokemus osoittaa, että ATMP-lääkkeiden arviointimenettelyä voidaan yksinkertaistaa. Kyseisen

¹⁸

Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1901/2006 lastenlääkkeistä sekä asetuksen (EY) N:o 1768/92, direktiivin 2001/20/EY, direktiivin 2001/83/EY ja asetuksen (EY) N:o 726/2004 muuttamisesta (EUVL L 378, 27.12.2006, s. 1).

menettelyn yksinkertaistamisesta on hyötyä mahdollisille hakijoille, ja sillä pitäisi myös voida varmistaa, että näitä monimutkaisia tuotteita arvioidaan kattavasti ja että tätä tehtävää koskeva vastuu jaetaan selkeästi virastossa.

4.6. Sertifiointi

Viraston toteuttama laatua koskevien ja muiden kuin kliinisten tietojen sertifiointi oli uusi väline, jolla oli tarkoitus auttaa pk-yrityksiä houkuttelemaan sijoituksia / saamaan tuloja ATMP-lääkkeiden kehittämiseen. Tieteelliseen neuvontaan sovellettujen alennusten mukaisesti virasto alensi pk-yritysten esittämien sertifiointipyyntöjen maksuja 90 prosenttia.¹⁹

Vastaanotettujen sertifiointihakemusten erittäin vähäinen määrä on kuitenkin ollut pettymys. Sertifiointimenettelyn vähäinen käyttö voi johtua osittain muiden kuin kaupallisten yksikköjen jättämisestä sertifiointijärjestelmän ulkopuolelle. Tämän välineen arvoa voitaisiin näin ollen lisätä laajentamalla sellaisten hakijoiden luokkaa, jotka voivat hakea sertifiointia.

Julkisen kuulemisen tuloksista ja EMA:n toteuttamasta kyselystä²⁰ ilmenee, että sertifiointin arvoa voitaisiin lisätä joillakin muutoksilla, kuten selkeyttämällä sertifiointi- ja myyntilupamenettelyjen välistä yhteyttä tai laajentamalla sertifiointijärjestelmää asian muihin osiin (kliinisiin näkökohtiin).

4.7. Tieteellinen neuvonta

ATMP-lääkkeiden kehittäjien ja viranomaisten väliset varhaiset sopimukset ovat tärkeitä, jotta voidaan varmistaa, että kehitystoimet suunnitellaan mahdollisimman hyvin myyntiluvan saantia koskevien mahdollisuuksien maksimoimiseksi. On erityisen tärkeää, että kehittäjät, jotka eivät tunne myyntilupamenettelyjä, ymmärtävät tuotteen tehokkuuden ja turvallisuuden osoittamista koskevat vaatimukset heti kehitystyön alkuvaiheessa.

Jotta ATMP-lääkkeiden kehittäjät saataisiin keskustelemaan tuotteidensa kehittämisestä viraston kanssa, ATMP-asetuksessa säädettiin tieteellistä neuvontaa koskevien pyyntöjen maksuihin myönnettävistä huomattavista alennuksista. Alennus oli pk-yritysten tapauksessa jopa 90 prosenttia.

Viraston tässä kertomuksessa tarkasteltavana ajanjaksona vastaanottamien tieteellistä neuvontaa koskevien pyyntöjen suuri määrä on myönteistä kehitystä, joka voi edistää tutkimuksen menestyksestä siirtämistä lääkkeisiin. Erityisen merkityksellistä on se, että valtaosa tieteellistä neuvontaa koskevista pyynnöistä oli peräisin pk-yrityksiltä (ks. 3.5 jakso). Pk-yrityksiin sovellettava huomattava alennus on siis osoittautunut tehokkaaksi.

Tiettyjen voittoa tavoittelemattomien organisaatioiden jättäminen maksukannustimien ulkopuolelle todettiin julkisessa kuulemisessa sen sijaan puutteeksi. Tiedeyhteisön esittämien tieteellistä neuvontaa koskevien pyyntöjen pienestä prosenttiosuudesta (6 %) voidaan päätellä, että pk-yrityksiin sovellettavaa alennusta vastaava maksualennus voisi kannustaa akateemisissa (tai muussa voittoa tuottamattomassa) yksikössä työskenteleviä tutkijoita pyytämään virastolta tieteellistä neuvontaa.

¹⁹

http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2013/07/WC500146978.pdf

²⁰

http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2013/02/WC500138476.pdf

4.8. Myyntilupahakemusta ja markkinoille saattamisen jälkeisiä velvoitteita koskevat maksukannustimet

Pk-yrityksiltä ja sairaaloilta perittäviä myyntilupahakemukseen ja (ensimmäisenä luvan myöntämisen jälkeisenä vuonna toteutettavaan) markkinoille saattamisen jälkeisiin toimiin liittyviä maksuja alennettiin 50 prosenttia, jos ATMP-lääke on kansanterveyden kannalta tärkeä. Kyseisiä maksualennuksia kuitenkin rajoitettiin ajallisesti, eikä niitä enää sovelleta.

Näiden maksukannustimien vaikutuksesta on vaikea tehdä yleisiä päätelmiä, koska niiden voimassaoloaikana myönnettiin ainoastaan kaksi myyntilupaa. Yleisesti ottaen markkinoille saattamisen jälkeisiin toimiin liittyvät kustannukset voivat kuitenkin olla hyvin suuria, etenkin jos markkinoille saattamisen jälkeisiä velvoitteita on paljon. Pienillä yrityksillä ei välttämättä ole varaa tällaisiin kustannuksiin etenkään ennen kuin lääkkeestä voidaan saada tuloja (eli ennen korvausmenettelyistä vastaavien kansallisten elinten suostumusta).

5. PÄATELMÄT

Pitkälle kehitetyistä terapioista voi olla suurta hyötyä potilaille. Niihin liittyy vielä kuitenkin monia tuntemattomia tekijöitä, minkä vuoksi asianmukainen valvonta on tärkeää, jotta voidaan estää kansanterveyteen kohdistuvat haitalliset vaikutukset.

ATMP-asetuksella suojellaan potilaita edellyttämällä, että EU:n parhaat saatavilla olevat asiantuntijat suorittavat ATMP-lääkkeen riippumattoman arvioinnin tiukkojen laatu-, tehokkuus- ja turvallisuusvaatimusten mukaisesti ennen tuotteen asettamista potilaiden saataville.

Liian hankalat vaatimukset voivat kuitenkin vaikuttaa haitallisesti kansanterveyteen, koska ne voivat estää pätevät hoidot täyttymättä jääneiden lääketieteellisten tarpeiden yhteydessä. Tämän alan sääntelyn pitäisi auttaa luomaan edellytykset, joilla helpotetaan uusien lääkkeiden markkinoille tuloa ja varmistetaan samalla kansanterveyden korkeatasoinen suojelu. Lisäksi on tärkeää, että sääntelykehystä mukautetaan nopeaan tieteelliseen kehitykseen.

ATMP-asetuksen voimaantulosta lähtien saadun kokemuksen perusteella voidaan määrittää muun muassa seuraavat mahdollisuudet auttaa tutkimuksen siirtämistä koko EU:ssa potilaiden saatavilla oleviin ATMP-lääkkeisiin ja ylläpitää samalla kansanterveyden korkeatasoista suojelua:

- ATMP-asetuksen soveltamisalaa selkeytetään viimeistelemällä ATMP-lääkkeiden nykyisiä määritelmiä ja pohtimalla asianmukaista sääntelykehystä sellaisia uusia innovatiivisia tuotteita varten, joihin ei voida soveltaa nykyisiä säännöksiä.
- Harkitaan toimia, joilla voidaan välttää ATMP-lääkkeiden luokittelussa olevat erot EU:ssa.
- Selkeytetään sairaalapoikkeusten hakuedellytyksiä ja niistä saatujen tietojen merkitystä myyntilupamenettelyjen yhteydessä.
- Tarkistetaan ATMP-lääkkeiden lupavaatimuksia, jotta voidaan varmistaa, että sovellettavat vaatimukset ovat oikeasuhteisia ja että ne on mukautettu hyvin kyseisten lääkkeiden erityisominaisuuksiin erityisesti autologisten tuotteiden tapauksessa.

- Myyntilupamenettelyjä yksinkertaistetaan.
- Laajennetaan sertifiointimenettelyä sekä selkeytetään sertifiointi- ja myyntilupamenettelyjen välistä yhteyttä.
- Akateemisessa tai voittoa tuottamattomassa yksikössä työskenteleville ATMP-lääkkeiden kehittäjille luodaan suotuisampi ympäristö muun muassa edistämällä varhaisia kontakteja viranomaisten kanssa, myöntämällä alennusta tieteellisestä neuvonnasta perittävistä maksuista ja laajentamalla sertifiointijärjestelmää kyseisiin kehittäjiin.
- Harkitaan mahdollisia maksukannustimia, jotta voidaan vähentää markkinoille saattamisen jälkeisten velvoitteiden taloudellisia vaikutuksia.