



Bryssel 26.10.2017
COM(2017) 626 final

KOMISSION KERTOMUS EUROOPAN PARLAMENTILLE JA NEUVOSTOLLE

**Lastenlääkkeiden tilanne EU:ssa – kymmenen vuotta EU:n lastenlääkeasetuksen
voimaantulosta**

1. JOHDANTO

Nykyisin ollaan laajasti yhtä mieltä siitä, että lapsilla on oikeus lääkkeisiin, jotka on tutkittu ja kehitetty erityisesti käytettäväksi nuorten potilaiden hoidossa. Lastenlääkkeiden kehittäminen ja testaus oli kuitenkin viime aikoihin asti kaukana tyydyttävästä. Monia lasten hoidossa käytettyjä valmisteita määrättiin ja annettiin pikemminkin lääkäreiden omien kokemusten kuin kliinisen tutkimustyön tulosten perusteella. Lisäksi lääkkeitä ei ollut useinkaan saatavilla lapsille sopivassa muodossa. Lastenlääkärit joutuivat käyttämään aikuisille tarkoitettuja lääkkeitä ja muuttamaan niiden annostusta ja muotoa, esimerkiksi murskaamalla aikuisille tarkoitettuja tabletteja ja käyttämällä niistä vain osan. Tällaiseen aikuisten lääkkeiden alkuperäistarkoituksesta poikkeavaan käyttöön sisältyy riski hoidon tehottomuudesta ja/tai lapsille aiheutuvista haittavaikutuksista. Jotkin sivuvaikutukset eivät ehkä ole haitallisia aikuisille mutta saattavat olla voimakkaita ja vakavia lapsilla.

Selvitysten mukaan lääkkeitä käytettiin monissa hoitotarkoituksissa yleisesti alkuperäistarkoituksesta poikkeavasti, usein jopa 50 prosentissa tapauksista. Lapsuusiän immunisaatio on merkittävä poikkeus, sillä se on yksi nykyaikaisen lääketieteen menestystarinoista.

Lasten lääkkeiden kehittämistä on laiminlyöty suuresti monista eri syistä. Aina 1980-luvulle saakka väitettiin usein, että lapsia olisi eettisistä syistä suojeltava kliinisiltä tutkimuksilta. Sitten on vähitellen päästy yksimielisyyteen siitä, että lapsille on taattava samantasoinen terveydenhoito kuin muillekin ikäryhmille ja että muun muassa lääkkeiden määräämisen on perustuttava tutkimusnäyttöön. Myös taloudelliset näkökohdat vaikuttivat siihen, miksi yritykset eivät investoineet aktiivisesti tähän alaan. Lapset kasvavat ja kehittyvät, ja siksi he eivät muodosta yhdenmukaista alaryhmää. Vastasyntyneiden tarpeet sekä biologiset ja fysiologiset ominaisuudet ovat hyvin erilaisia teini-ikäisiin verrattuna. Sen vuoksi tarvitaan usein ikäryhmäkohtaisia lisätutkimuksia, mikä tekee lastenlääkkeiden kehittämisestä entistä monimutkaisempaa.

Lastenlääkeasetus¹, jäljempänä 'asetus', hyväksyttiin tämän ongelman ratkaisemiseksi. Lainsäädäntötoimea pidettiin tarpeellisena aikaisempien suuntausten muuttamiseksi. Lainsäädäntö perustuu useita vuosia kestäneeseen kuulemis- ja keskustelumenettelyyn. Se sai vaikutteita myös Yhdysvalloissa tapahtuneesta kehityksestä, sillä Yhdysvalloissa käynnistettiin 1990-luvun lopulla lainsäädännöllisiä lähestymistapoja lastenlääkkeiden kehittämiseen vaikuttamiseksi.

Vuonna 2017 vietetään asetuksen kymmenettä vuosipäivää. Tässä selvityksessä kuvataan asetuksen 50 artiklan 3 kohdan mukaisesti asetuksen taloudellisia vaikutuksia ja vaikutuksia kansanterveyteen sekä analysoidaan, missä määrin sen tavoitteet on saavutettu. Vaikka tietokantaan on kymmenessä vuodessa saatu jo runsaasti kokemuksia, kyseessä on kuitenkin suhteellisen lyhyt aika, kun otetaan huomioon lääkkeiden pitkälinen kehitystyö, joka usein saattaa kestää lähes kymmenen vuotta.

¹ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1901/2006, annettu 12 päivänä joulukuuta 2006, lastenlääkkeistä (EUVL L 378, 27.12.2006, s. 1).

Tämä selvitys pohjautuu Euroopan lääkeviraston (EMA) ja sen lastenlääkekomitean laatimaan kymmenvuotiskertomukseen², komission teettämään ulkoiseen tutkimukseen asetuksen vaikutuksista³, julkiseen kuulemiseen sekä jäsenvaltioiden, Euroopan parlamentin⁴, potilaiden, yritysten, asianomaisten sidosryhmien ja ulkoisten kumppaneiden kanssa käytyihin keskusteluihin asetuksen vaikutuksista saaduista kokemuksista.

2. LASTENLÄÄKEASETUS

Asetus perustuu kolmeen keskeiseen tavoitteeseen:

- kannustetaan ja tuetaan laadukasta tutkimusta lastenlääkkeiden kehittämiseksi
- varmistetaan, että ajan mittaan suurin osa lasten käyttämistä lääkkeistä on hyväksytty erityisesti tällaiseen käyttöön kullekin ikäryhmälle sopivina lääkemuotoina
- parannetaan korkealaatuisen tiedon saatavuutta lasten käyttämistä lääkkeistä.

Asetuksella luodaan näiden tavoitteiden saavuttamiseksi velvoite-, palkkio- ja kannustinjärjestelmä sekä otetaan käyttöön toimenpiteitä, joilla varmistetaan, että lääkkeitä tutkitaan, kehitetään ja hyväksytään säännöllisesti lasten terapeuttisten tarpeiden täyttämiseksi. Perustana on yksinkertainen ajatus siitä, että yritykset olisi velvoitettava tarkistamaan kaikkien kehittämiensä tuotteiden mahdollinen soveltuvuus lasten käyttöön ja tällä tavoin lisättäisiin vähitellen lasten hoitoon hyväksytyjen tuotteiden määrää.

Asetuksessa yritykset velvoitetaan sopimaan kehitystyön varhaisessa vaiheessa EMAn kanssa lastenlääkettä koskevasta tutkimus- ja kehittämisohjelmasta, jäljempänä 'lastenlääkettä koskeva tutkimusohjelma'. Asetus vaikuttaa suoraan yritysten tutkimus- ja kehittämismenoihin, sillä se velvoittaa investoimaan lastenlääkkeiden tutkimukseen. Jos yritys ei noudata sopimusta, vastaava aikuisille hyväksytyyn lääkkeen myyntilupa voidaan evätä. Asetuksessa mennään sen vuoksi pidemmälle kuin harvinaisten sairauksien hoitoon tarkoitetuista lääkkeistä annetussa lainsäädännössä, jäljempänä 'harvinaislääkeasetus'⁵, jossa säädetään ainoastaan yrityksille tarkoitetuista kannustimista.

Asetuksessa säädettyä velvollisuutta täydennetään muilla toimenpiteillä, erityisesti seuraavilla:

² Kymmenvuotiskertomus Euroopan komissiolle – yleiskertomus lastenlääkeasetuksen soveltamisesta saaduista kokemuksista.

³ Technopolis, Study on the economic impact of the Paediatric Regulation, including its rewards and incentives, 2017.

⁴ Euroopan parlamentin päätöslauselma, annettu 15 päivänä joulukuuta 2016, lastenlääkkeitä koskevasta asetuksesta.

⁵ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 141/2000, annettu 16 päivänä joulukuuta 1999, harvinaislääkkeistä (EYVL L 18, 22.1.2000, s. 1).

- poikkeuslupajärjestelmä sellaisia lääkkeitä varten, jotka todennäköisesti eivät ole tehokkaita lapsiväestössä, sekä lykkäysjärjestelmä, joka koskee lapsiin kohdistuvien toimenpiteiden ajoittamista
- palkkio velvollisuuden noudattamisesta: kuuden kuukauden jatko aika lisäsuojatodistuksen voimassaoloon⁶
- erityispalkkio harvinaislääkkeille: harvinaislääkeasetuksessa myönnetyn markkinayksinoikeuden kymmenvuotisen keston jatkaminen kahdella ylimääräisellä vuodella
- uudenlainen myyntilupa eli lastenlääkkeen myyntilupa, jonka tarkoituksena on kannustaa patenttisuojattomien lääkkeiden kehittämistä lapsia koskevaa käyttöaihetta varten
- tieteellisen lastenlääkekomitean perustaminen EMAn yhteyteen ja
- EMAn maksuttoman tieteellisen neuvonnan tarjoaminen teollisuudelle.

Asetuksella edistetään lisäksi laadukasta tiedotusta ja tutkimusta muiden toimenpiteiden avulla, joita ovat muun muassa

- eurooppalainen Enpr-EMA-verkosto, johon kootaan lapsiväestössä tehtäviä tutkimuksia suorittavien tutkijoiden ja tutkimuskeskusten verkostoja
- EU:n luettelo lasten lääketarpeista
- lapsiin kohdistuvien tutkimusten julkinen tietokanta
- vaatimus, jonka mukaan yritysten on toimitettava sääntelyviranomaisten tarkastettaviksi kaikki lapsiin kohdistuvat tutkimukset, jotka koskevat myyntiluvan saaneita lääkkeitä.

Yksi asetuksen kiistattomista saavutuksista on se, että lastenlääkkeiden kehittäminen saa sen ansiosta lisää huomiota ja investointeja. Yritykset joutuvat luomaan lastenlääkkeiden tutkimusinfrastruktuurin sekä varmistamaan, että niillä on tuotekehityksensä tukena asianmukaiset valmiudet lapsiin kohdistuvia tutkimuksia varten.

Komissio julkaisi vuonna 2013 ensimmäisen kertomuksen asetuksen vaikutuksista ja totesi, että edistymisestä oli lupaavia merkkejä⁷. Se katsoi kuitenkin, että lääkkeiden kehittämistyön pituuden vuoksi kestää ainakin kymmenen vuotta, ennen kuin saadaan kattava käsitys tilanteesta.

Asetuksen 50 artiklan 3 kohdassa edellytetään, että komissio esittää toisen selvityksen vuonna 2017. Toisessa selvityksessä on pohdittava myös, olisiko asetukseen harkittava muutoksia.

⁶ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 469/2009, annettu 6 päivänä toukokuuta 2009, lääkkeiden lisäsuojatodistuksesta (EUVL L 152, 16.6.2009, s. 152).

⁷ Parempia lääkkeitä lapsille – suunnitelmista totta, COM(2013) 443.

3. LISÄÄ LÄÄKKEITÄ LAPSILLE

Luvut osoittavat, että asetus on vaikuttanut huomattavasti lastenlääkkeiden kehittämiseen EU:ssa. Lääkeyritykset pitävät nykyisin lastenlääkkeiden kehittämistä olennaisena osana lääkkeiden kehitystyötä, vaikka jotkut niistä katsovat edelleen lapsiväestössä tehtävien tutkimusten olevan pikemminkin sääntelystä johtuvia kuin yrityslähtöisiä.

Vuosina 2007–2016 hyväksyttiin yli 260 uutta lapsille tarkoitettua lääkettä (uusia myyntilupia ja uusia käyttöaiheita), joista useimmat liittyivät asetuksen vaatimuksiin. Lastenlääkkeitä koskevia tutkimusohjelmia hyväksyttiin vuonna 2017 yli 1 000, joista 131 saatettiin päätökseen vuoden 2016 lopussa. Päätökseen saatettujen tutkimusohjelmien määrä kasvaa selvästi, ja kolmen viime vuoden aikana tutkimusohjelmista on saatu päätökseen yli 60 prosenttia. Toimivaltaiset viranomaiset ovat lisäksi arvioineet ennen asetuksen voimaantuloa suoritettuja lapsiin kohdistuvia tutkimuksia (45 artikla), ja näin on voitu vahvistaa jo olemassa olevaa näyttöä ja täydentää valmistetietoja lapsia koskevilla tiedoilla.

Kun tarkastellaan tilannetta ennen asetusta ja sen jälkeen, vertailu osoittaa asetuksen vaikuttaneen uusiin hyväksytyihin lääkkeisiin selvästi myönteisesti. Sama pätee kansainvälisiin vertailuihin. Niissä on verrattu oikeusjärjestelmiä, joilla on lastenlääkkeisiin liittyvää lainsäädäntöä, oikeusjärjestelmiin, joilla ei ole sellaista: lastenlääkkeitä on merkittävästi enemmän sellaisten oikeusjärjestelmien alueella, joissa on lastenlääkkeisiin liittyviä säännöksiä.

Edellä kuvattu määrällinen analyysi osoittaa, että edistystä on tapahtunut selvästi. Tulosluvut ovat myös odotusten mukaisia, kun otetaan huomioon, että lääkkeen saattaminen markkinoille voi kestää jopa kymmenen vuotta ja asetuksen tuomat muutokset ovat vähittäisiä.

Myyntiluvan myöntäminen tai olemassa olevien myyntilupien täydentäminen lapsia koskevilla tiedoilla ei kuitenkaan automaattisesti merkitse, että tuote olisi välittömästi kaikkien lapsipotilaiden saatavilla EU:ssa. Tähän voivat vaikuttaa kansallisella tasolla vireillä olevat korvauspäätökset tai lääkemääräyskäytännöt, joiden vuoksi lääkärit eivät voi välittömästi ryhtyä määräämään vastikään hyväksytyjä lääkkeitä. Selvitystä varten tehtiin kyselytutkimus⁸, johon vastanneista suurin osa arvioi saatavilla olevien lääkkeiden määrän lisääntyneen 5–10 prosentilla. Vastaaajista 58 prosenttia ilmoitti lääkemääräyskäytännöistä, että lääkärit määräsivät asetuksen seurauksena yhä enemmän hyväksytyjä lääkkeitä lapsia koskevan hyväksytyyn käyttöaiheen mukaisesti. Tämä osoittaa suuntauksen olevan myönteinen mutta tuo samalla esiin tietynlaisen hitauden. Lääkkeiden alkuperäistarkoituksesta poikkeavan käytön väheneminen lapsilla ei loppujen lopuksi johdu vain hyväksytyjen lastenlääkkeiden määrän kasvusta vaan niiden tosiasiallisesta saatavuudesta ja käytöstä.

Tässä yhteydessä on todettava yritysten ottavan uusia tuotteita käyttöön usein porrastetusti, ja tämä aiheuttaa viivästyksiä siihen saakka, kun tuote on lopulta saatavilla koko EU:n alueella. Tätä ei voida täysin estää, vaikka asetus sisältääkin useita välineitä sen varmistamiseksi, että tuote saatetaan markkinoille heti, kun lastenlääkkeitä koskeva tutkimusohjelma on saatu päätökseen ja lastenlääke on hyväksytty. Esimerkiksi 36 artiklan mukaista lisäsuojatodistusta koskeva palkkio myönnetään ainoastaan, jos

⁸ Technopolisin tutkimus, luku 5.

valmiste hyväksytään kaikissa jäsenvaltioissa. Asetuksen 33 artikla sisältää myös velvoitteen, jonka mukaan valmiste on saatettava markkinoille kahden vuoden kuluessa lapsia koskevan käyttöaiheen hyväksymisestä.

Lastenlääkkeiden riittävän nopeaan saatavuuteen voi vaikuttaa myös se, jos lapsiin kohdistuvien tutkimusten loppuun saattaminen viivästyy verrattuna aikuisille tarkoitetun vastaavan valmisteen viimeistelyyn ja hyväksymiseen. Asetus sisältää säännöksiä lykkäyksen myöntämisestä joidenkin tai kaikkien tutkimusohjelmaan sisältyvien toimenpiteiden aloittamiseen tai loppuun saattamiseen (20 artikla), jotta voidaan varmistaa, että tutkimuksia tehdään vain silloin, kun se on turvallista ja eettisesti perusteltua. Lisäksi tarkoituksena on välttää, ettei aikuisväestölle tarkoitettujen valmisteiden hyväksymistä estetä tai viivytetä.

Kokemus on osoittanut lykkäyksen olevan laajasti käytetty väline. Käytännössä lähes kaikissa uusissa lastenlääkkeistä koskevissa tutkimusohjelmissa, jotka ovat sidoksissa aikuisten lääkkeiden kehittämiseen, yhtä tai useampaa toimenpidettä lykätään. Lykkäys on periaatteessa hyödyllinen ja tarkoituksenmukainen väline, eikä ole olemassa näyttöä siitä, että lastenlääkkeisiin liittyvät vaatimukset olisivat viivästyttäneet aikuisten lääkkeitä koskevien hakemusten käsittelyä. Lastenlääkekomitea on kuitenkin joissakin tapauksissa hyväksynyt lykkäyksiä erittäin pitkäksi ajaksi. Tämä saattaa turhauttaa kliinisiä asiantuntijoita ja potilaita, erityisesti jos lupaava lastenlääke on tästä syystä saatavilla vasta vuosien kuluttua vastaavan aikuisten valmisteen hyväksymisestä. Kokemus osoittaa lisäksi, että lapsiin kohdistuviin tutkimuksiin on yhä vaikeampi löytää potilaita, jos niiden aloittamista lykätään niin kauan, että aikuisten valmiste on hyväksytty. Vanhemmat eivät välttämättä ymmärrä, mitä lisäarvoa heidän lapsensa osallistuminen kliiniseen tutkimukseen voi tuoda, jos aikuisten valmistetta voidaan jo käyttää lasten hoidossa (alkuperäistarkoituksesta poiketen). Lykkäykset liittyivät joissakin tapauksissa myös lastenlääkkeistä koskevan tutkimusohjelman myöhäiseen toimittamiseen. Vaikka myöhäisten toimitusten määrä on vähenemässä (tällä hetkellä 10–20 prosenttia), lykkäyksen myöntäminen voi niiden tapauksessa edellyttää tarkempaa arviointia, jotta varmistetaan, ettei myöhäinen toimittaminen tapahdu lapsille suunnattujen hoitomuotojen nopean kehittämisen kustannuksella.

EMA ja sen lastenlääkekomitea tarkastelevat parhaillaan tätä taustaa vasten aikaisempia käytäntöjä, jotta varmistetaan yhdenmukaisuus ja vältetään huomattavat lykkäykset. Pitkien lykkäysten myöntämisen voidaan tieteen kehityksen kannalta katsoa merkitsevän, että tuotekehityksen merkittävä terapeuttinen hyöty kyseenalaistetaan verrattuna lapsipotilaiden käytössä jo oleviin hoitomuotoihin. Lapsiin kohdistuvien tutkimusten lisäarvo saattaa tällaisissa tapauksissa olla vähäinen. Lisäksi pitkät lykkäykset voivat heikentää lastenlääkevaatimusten täytäntöönpanokelpoisuutta ja palkkioiden saatavuutta, erityisesti silloin, jos lykkäys päättyy valmisteen suoja-aikojen päätyttyä.

4. PAREMPIA LÄÄKKEITÄ LAPSILLE

Lastenlääkkeiden saatavuus on asetuksen ansiosta parantunut huomattavasti joillakin hoitoaloilla kymmenen viime vuoden aikana. Reumatologia ja tartuntataudit mainitaan usein malliesimerkkeinä. Reumatauteja sairastaville lapsille tarkoitetut hoitomuodot ovat lisääntyneet merkittävästi sen jälkeen, kun lastenlääkkeistä koskevat tutkimusohjelmat saatiin päätökseen, ja tämä on merkinnyt muutosta aikaisemmin laiminlyödyillä alalla.

Myönteinen kehitys ei kuitenkaan noudata strategista suunnitelmaa, vaan se on usein sidoksissa aikuisten lääkemarkkinoiden kehitykseen. Koska useimpien lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien lähtökohtana on aikuisten lääkkeiden tutkimus- ja kehitysohjelma, lastenlääkealan kehitys riippuu aikuisten lääkkeiden tuotannosta yrityksissä, ja siihen vaikuttavat tietyn markkinasegmentin tuottoennusteet. Lapsille on välitöntä hyötyä siitä, jos aikuisten tarpeet tai markkinoiden odotukset osuvat yksiin lasten lääketarpeiden kanssa. On kuitenkin olemassa huomattava määrä sairauksia, jotka ilmenevät aikuisilla ja lapsilla biologisesti eri tavalla, tai sairauksien määrä vaihtelee aikuisten ja lasten välillä tai niitä esiintyy vain lapsilla. Asetuksella käyttöön otettu mekanismi joutuu tällaisten sairauksien yhteydessä toisinaan vastaamaan tieteellisiin, kliinisiin ja markkinoihin liittyviin realiteetteihin.

Kyseessä on kaksiteräinen miekka. Tuore esimerkki on aikuisilla esiintyvän kakkostyyppin diabeteksen uusi aalto, joka saattaa ylikuormittaa järjestelmää; sairauden esiintyvyys aikuisväestössä on 1980-luvulta alkaen koko ajan kasvanut. Monet yritykset ovat viime vuosina keskittyneet tähän hoitotarkoitukseen, ja toiminta on sen vuoksi kasvanut huippuunsa ja kehitteillä on uusia valmisteita. Tämän tyyppiset aallot johtavat samalla lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien lisääntymiseen, vaikka hoitotarpeen kannalta vähempikin saattaisi riittää, sillä kakkostyyppin diabetes on lapsilla yhä suhteellisen harvinainen. Sairauden esiintyvyyden epäsuhta aikuis- ja lapsiväestön välillä voi myös vaikeuttaa lapsiin kohdistuvien tutkimusten toteuttamista, koska lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman tutkimuksiin ei yksinkertaisesti ehkä ole saatavilla riittävästi nuoria potilaita. Tällaisten ongelmien ratkaisemiseksi on ehdotettu, että yritysten olisi tehtävä tutkimusyhteistyötä voidakseen hyödyntää paremmin potilaiden suppeaa joukkoa. Yritykset kuitenkin epäröivät, erityisesti silloin, kun kyseessä on mahdollisten läpimurtolääkkeiden kehittäminen aikuisille. Lastenlääkekomitea ei kuitenkaan voi asettaa tärkeysjärjestykseen tietyn hoitoalan lastenlääkkeitä koskevia tutkimusohjelmia. Usein päädytään pattitilanteeseen, sillä ainoastaan kliinisten kokeiden tulokset voisivat tarjota lastenlääkekomitealle tarvittavaa tietoa sen arvioidessa, mitkä yhdisteet takaisivat kaikkein lupaavimmat tulokset lapsilla. Lastenlääkekomitea esittää kantansa ja lastenlääkettä koskeva tutkimusohjelma hyväksytään kuitenkin yleensä ennen kuin kyseiset tulokset ovat saatavilla, koska tutkimusohjelman tarkoituksena on nimetä ja hyväksyä suoritettavat tutkimukset.

Toisessa ääripäässä ovat sairaudet, joita esiintyy ainoastaan lapsiväestössä. Niiden tapauksessa lastenlääkkeiden kehittäminen edellyttää yleensä yrityksen strategista päätöstä investoida kyseiseen alaan käynnissä olevista aikuisten lääkkeiden kehittämisohjelmista riippumatta. Tämä koskee erityisesti harvinaisia lastentauteja, kuten lasten syöpiä.

Hyväksytyjen lastenlääkettä koskevien tutkimusohjelmien analyysi osoittaa vakuuttavasti, että ne kattavat monia eri hoitotarkoituksia, joista etusijalla ovat tartuntataudit (12 prosenttia), syöpätaudit (10 prosenttia) sekä endokrinologiset ja aineenvaihduntaan liittyvät sairaudet (9 prosenttia), mutta yksikään hoitotarkoituksista ei ole hallitsevassa asemassa. Tämä on kaiken kaikkiaan hyvä merkki, sillä se osoittaa lastenlääkkeisiin liittyvien toimien kattavan monenlaisia sairauksia. Hyväksytyjen lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien suuri määrä ei kuitenkaan välttämättä merkitse, että loppuun saatettuja tutkimusohjelmia olisi paljon. Tällä hetkellä loppuun saatetuista tutkimusohjelmista suurin osa koskee immunologiaa ja reumatologiaa (14 prosenttia), tartuntatauteja (14 prosenttia), sydän- ja verisuonisairauksia sekä rokotteita (molemmat 10 prosenttia) mutta vain 7 prosenttia koskee syöpäsairauksia sekä endokrinologisia ja aineenvaihduntaan liittyviä sairauksia. Lastenlääkkeitä koskevien

hyväksytyjen ja loppuun saatettujen tutkimusohjelmien kehitys ei myöskään välttämättä ole verrannollinen lastentautien esiintyvyyteen, mikä osoittaa jälleen, että lastenlääkkeiden kehittämistä ohjaa usein aikuisten lääkkeiden kehittäminen. Asetuksella on vain rajalliset mahdollisuudet suunnata toimia tiettyihin hoitotarkoituksiin. Se on tärkeä väline, mutta sen laadulliset vaikutukset ovat yhä sidoksissa markkinavoimiin, kasvun vauhdittajiin ja yritysten strategiaan näkemyksiin.

Lasten syöpäsairauksia käytetään usein lasten lääketarpeita käsittelevässä keskustelussa esimerkkinä riittämättömästä kehityksestä alalla, jolla lastenlääkkeitä tarvitaan paljon mutta näihin tarpeisiin ei ole vastattu. Vaikka syöpä on lapsilla harvinainen, se on varhaislapsuuden jälkeen silti tärkein sairaudesta johtuva kuolinsyy huolimatta siitä, että viime vuosikymmeninä eloonjäämisluvut ovat joissakin syöpätyypeissä parantuneet.

Lasten syöpäsairauksia käsittelevä keskustelu liittyy usein asetuksen 11 artiklassa määritetyn poikkeuksen käsitteeseen. Artiklan mukaan lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman vaatimukseen voidaan tietyissä olosuhteissa myöntää poikkeus yksittäisten lääkkeiden tai lääkeryhmien kohdalla. Näin tehdään, jos lääke ei todennäköisesti olisi tehokas tai turvallinen lapsiväestössä tai jos sillä ei saavuteta merkittävää terapeutista hyötyä käytössä oleviin hoitomuotoihin verrattuna. Poikkeuslupa myönnetään myös, jos sairaus tai tila, jonka hoitoon lääke on tarkoitettu, esiintyy pelkästään aikuisväestössä.

Poikkeusluvan tarkoituksena on välttää tarpeettomat ja jopa epäeettiset tutkimukset sekä rajata täsmällisesti velvoitteiden soveltamisala, ja sitä pidetään tarkoituksenmukaisena välineenä. EMA myönsi vuosina 2007–2016 muutamia valmisteryhmää koskevia poikkeuslupia ja 486 valmistekohtaista poikkeuslupaa tietyn lääkkeen käyttämiseksi yhden tai usean sairauden hoidossa. Vaikka yleensä on asianmukaista myöntää lupa poiketa lastenlääketutkimuksia koskevista vaatimuksista, jos kohteena olevaa sairautta ei esiinny lapsiväestössä, ei kuitenkaan ole poissuljettua, että yhdisteestä voi silti olla hyötyä lapsille, vaikkakin eri sairauden hoidossa. Esimerkiksi monilla lasten syövillä on biologisia yhtäläisyyksiä aikuisten syöpäsairauksien kanssa, vaikka ne esiintyvät eri elimissä ja niitä siksi yleensä pidetään eri sairauksina. Näin ollen yritykselle saatetaan myöntää poikkeuslupa, vaikka aikuisia varten kehitetyn yhdisteen toimintamekanismi ja sen molekulaarinen kohde saattavat olla tehokkaita myös joidenkin lasten syöpien hoidossa.

Markkinoille on viime vuosina saatettu runsaasti innovatiivisia aikuisten syöpälääkkeitä, joista osa on lajissaan ensiluokkaisia. Ne tarjoavat tehokkaampia hoitovaihtoehtoja ja parantavat potilastuloksia ja eloonjäämislukuja. Syöpähoidot ovat tällä hetkellä suurin uusien lääkkeiden ryhmä, myös niiden odotetun tuoton kannalta. Lisäksi niiden odotetaan edelleen tuovan muutoksia hoitomahdollisuuksiin⁹.

Kaikista tällä hetkellä kehitystyön loppuvaiheessa olevista lääkkeistä noin neljäsosa on tarkoitettu syöpäsairauksien hoitoon. Harvinaislääkeasetus on myös yksi osoitus siitä, että syöpälääkkeiden kehittämisestä ollaan edelleen hyvin kiinnostuneita. Syöpähoidot kuuluvat asetuksessa useimmin nimettyihin harvinaisten sairauksien hoitoihin, ja se osoittaa kehitystyön suuntautuvan kohdennettuihin lääkkeisiin¹⁰. Aikuisten hoidoissa

⁹ QuintilesIMS Institute, Outlook for global medicines through 2021, joulukuu 2016.

¹⁰ Euroopan komissio, Inventory of Union and Member States incentives to support research into, and the development and availability of, orphan medicinal products, SWD(2015) 13.

havaittava kehitystahti ei kuitenkaan toistaiseksi heijastu lapsipotilaiden hoitoihin. Joissakin lasten syöpäsairauksissa käytetyimmät lääkkeet ovat peräisin 1990-luvulta, mikäli niitä ylipäätään on.

Asetus on samalla vaikuttanut uusien syöpälääkkeiden hyväksymiseen ja edistänyt sitä. Lastenlääkkeitä koskevissa tutkimusohjelmissa on saatu kehitettyä seitsemän eri valmistetta, jotka tarjoavat vaihtoehtoja korkea-asteen gliooman, rabdomyosarkooman, astrocytooman ja akuutin lymfaattisen leukemian hoitoon.

Lasten syöpälääkkeitä koskevat hyväksytyt tutkimusohjelmat kattavat yli 30 erilaista toimintamekanismia, ja tutkimusohjelmien määrä (68) antaa aihetta odottaa uusia parannuksia tulevaisuudessa. Osa hyväksytyistä tutkimusohjelmista perustuu vaikutusmekanismin periaatteeseen, toisin sanoen yritys on sitoutunut lastenlääkkeiden tutkimukseen lasten syöpien hoitoon tarkoitettusta yhdisteestä mahdollisesti saatavan hyödyn vuoksi, vaikka sille olisi mahdollisesti myönnetty poikkeuslupa.

Asetuksen toissijaiset vaikutukset ovat saattaneet osaltaan edistää tätä sitoutumista, sillä asetus itsessään kannustaa yrityksiä vahvistamaan asiantuntemustaan lastenlääkkeiden kehittämisen alalla. Tämä on saattanut vaikuttaa yritysten strategiseen päätökseen vastata lasten lääketarpeisiin erityisesti käyttämällä innovatiivisia koeasetelmia, kuten koritutkimuksia, joissa yhdistettä testataan useisiin eri syöpätyyppeihin. Näin saadaan tietoa, jonka pohjalta lupaavimmat kehitteillä olevat muodot valitaan varhaisessa vaiheessa. Lisäksi EU myöntää syöpätutkimukseen kohdennettua rahoitusta, muun muassa Euroopan strategisten investointien rahastosta¹¹.

Edellä mainitut tulokset ovat vaihtelevia, ja sen vuoksi on esitetty vaatimuksia, joiden mukaan vaikutusmekanismin periaatetta olisi hyödynnettävä tehokkaammin ja lainsäädäntöön olisi tehtävä poikkeuslupaa koskevia muutoksia, jotta yritykset pakotettaisiin investoimaan yhä enemmän lasten syöpälääkkeiden kehittämiseen. Tämä voisi kuitenkin vaikuttaa lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien kohteiden ennustettavuuteen, ja yritykset voisivat päätyä arvioimaan uudelleen koko tuotekehitystä.

EMA tarkisti vuonna 2015 päätöstään valmisteryhmää koskevasta poikkeusluvasta vaikutusmekanismin periaatteen pohjalta ja rajoitti sen perusteella päätöksen soveltamisalaa. Tämä lähestymistapa voi edistää yhteistyötä syöpälääkkeitä kehittävien yritysten kanssa. Jos yritykset haluavat edelleen käyttää poikkeuslupaa, niiden on toimitettava perustelut suoraan lastenlääkekomitealle lähetettävässä hakemuksessa (valmistekohtaisen poikkeusluvan mukaisesti). Poikkeuslupahakemuksesta huolimatta menettelyssä voidaan käydä suoraa keskustelua lastenlääkkeisiin liittyvien mahdollisuuksien esiin tuomiseksi. Yritysten on myös otettava yhteyttä komiteaan varhaisemmassa kehitystyön vaiheessa saadakseen varmuuden asetuksen vaatimuksista. Valmisteryhmää koskevan poikkeusluvan tarkistuksen vaikutuksia on silti arvioitava myöhemmin, koska kolmivuotinen siirtymäkausi ei ole vielä päättynyt, mutta lähestymistapa saattaa saada yrityksiltä lakisäätteisiä määräyksiä paremman tuen.

Toistaiseksi ei myöskään ole täysin selvää, miksi yritykset eivät hyödynnä harvinaislääkeasetuksessa myönnettyjä etuja lasten syöpäsairauksien yhteydessä samalla tavoin kuin aikuisten syöpien yhteydessä. Hyvin monet uusista aikuisten syöpälääkkeistä

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

on kehitetty harvinaislääkeasetuksen kannustamina, kun taas lasten syöpiin sillä ei ole ollut samanlaista vaikutusta, vaikka niitä kaikkia voidaan pitää harvinaislääkeasetuksessa tarkoitettuina harvinaisina sairauksina.

5. VAIN LAPSILLE TARKOITETTUIEN LÄÄKKEIDEN KEHITTÄMISEN EDISTÄMINEN

Asetuksen myönteiset vaikutukset ja sen aiheuttama ajatustavan muutos näkyvät parhaiten siinä, että lastenlääkkeiden kehittäminen on sisällytetty osaksi uusien lääkkeiden yleistä kehittämistä. Vaikutukset eivät ole yhtä selviä kehitettäessä vain lapsille tarkoitettuja lääkkeitä tapauksissa, joissa niitä ei johdeta aikuisten lääkkeistä, vaan yritys pyrkii kehittämään ainoastaan lapsille tarkoitettua lääkkeen tietyn lastentaudin hoitoon.

Saatavilla olevat tiedot eivät sisällä riittävästi näyttöä varmojen päätelmien esittämiseksi. Jotkut katsovat kuitenkin, että lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman edellyttämä menettely monimutkaistaa entisestään vain lasten hoitoon tarkoitettujen valmisteiden kehittämistä ja mahdollisesti pidentää kehittämiseen tarvittavaa aikaa. Vaikka EMA ja lastenlääkekomitea voivat yhä tarjota hyödyllistä opastusta ja varmistaa, että kehittämisessä otetaan huomioon kaikki asiaankuuluvat lapsiväestön alaryhmät, vaikutukset ovat huomattavasti vähäisemmät kuin aikuisten lääkkeisiin perustuvassa kehittämisessä. Yritykset ovat siksi saattaneet ainakin asetuksen voimassaolon ensimmäisinä vuosina asettaa etusijalle aikuisten lääkkeisiin liittyviä lastenlääkehankkeita sellaisten hankkeiden sijasta, jotka koskevat vain lapsille tarkoitettuja lääkkeitä, ja varmistaneet näin, että hanke saadaan päätökseen ajoissa. Vaikka tilanne voi ajan mittaan muuttua erityisesti harvinaisten lastentautien osalta, vaikuttaa siltä, että olisi ymmärrettävä paremmin harvinaislääkeasetuksen ja lastenlääkeasetuksen yhteisvaikutusta ja niiden keskinäistä vastaavuutta, jotta voidaan arvioida kyseisten säädösten tarjoamaa lisäarvoa vain lapsilla esiintyvien sairauksien hoidossa.

Asetuksella pyritään hyödyttämään vain lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämisessä erityisesti yhtä ryhmää, mutta tähän saakka siinä ei ole onnistuttu. Asetuksella otettiin käyttöön lastenlääkkeen myyntilupa. Lastenlääkkeen myyntiluvan (30 artikla) tärkein tavoite on tukea olemassa olevien, patenttisuojaamattomien yhdisteiden tutkimusta ja/tai auttaa muuttamaan tunnettu käyttöaiheesta poikkeava käyttö hyväksytyksi käytöksi, joka voidaan myyntiluvan avulla tehdä turvallisemmaksi ja rajata paremmin. Lastenlääkkeen myyntilupa takaa valmistajalle hyväksymisen jälkeen kymmenen vuoden pituisen markkinointia koskevan suoja-ajan, jonka aikana markkinoille ei voida saattaa lääkkeen generisiä kopioita.

Lastenlääkkeen myyntilupia on tähän mennessä myönnetty vain kolme. Määrä on selvästi odotettua vähemmän ottaen huomioon, että EU on myöntänyt seitsemänneistä puiteohjelmasta kohdennettua tukea patenttisuojaamattomille lääkkeille useiden vuosien ajan. Vaikka EMA hyväksyi lastenlääkkeen myyntilupia varten yli 20 tutkimusohjelmaa, on edelleen epävarmaa, kuinka monta niistä saatetaan koskaan päätökseen ja kuinka monen pohjalta markkinoille tuodaan uusia tuotteita.

Komissio ja EMA pyrkivät vuonna 2014 lisäämään kiinnostusta toteamalla, ettei lastenlääkkeen myyntilupaa varten toteutettavan tutkimusohjelman välttämättä tarvitse kattaa kaikkia ikäryhmiä, mutta vaikutus on toistaiseksi ollut vähäinen. Vaikka yritykset voivat tämän ansiosta keskittää tutkimuksensa sellaisiin lapsiväestön alaryhmiin, joissa

sairautta esiintyy yleisimmin, vaarana on, että kohdeväestö ja odotettu tuotto supistuvat entisestään.

Lastenlääkkeen myyntilupaan liittyvät ongelmat ovat samat kuin millä tahansa muulla järjestelyllä, jolla yrityksiä kannustetaan investoimaan lisätutkimuksiin, jotka koskevat tunnettuja, markkinoilla jo pitkään olleita yhdisteitä (mukauttaminen). Lääkkeiden kehittäjät pelkäävät, että lastenlääkkeen myyntilupa ei välttämättä estä lääkäreitä käyttämästä edelleen alemmilla kustannuksilla samaa tehoainetta sisältäviä kilpailijoiden tuotteita, jotka on hyväksytty muita käyttöaiheita varten, tai apteekkeja korvaamasta lääkettä edullisemmilla lääkemuodoilla. Lisäksi kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien maksajat ovat yleensä haluttomia maksamaan lisähintaa tällaisista tuotteista.

Kun otetaan huomioon tällä hetkellä hyväksytyjen lastenlääkkeen myyntilupien vähäinen määrä, ei ole mahdollista tarkistaa, onko kyseiset riskit näytetty toteen, eikä myöskään arvioida palkkiona myönnetyn lastenlääkkeen myyntiluvan taloudellista arvoa. Vaikka saatavilla olevat tiedot osoittavat, että lastenlääkkeen myyntiluvan perusteella hyväksytyt valmisteet ovat saaneet myönteisiä korvauspäätöksiä useissa jäsenvaltioissa ja että ne ovat liiketaloudellisesti kannattavia, ne voivat olla vain poikkeustapauksia, jotka johtuvat pikemminkin valmisteiden erityispiirteistä kuin ainoastaan lastenlääkkeen myyntiluvasta.

Tämä osoittaa, että lastenlääkkeen myyntiluvan kaupalliseen menestykseen vaikuttavat monet tekijät, joita tuskin voidaan käsitellä EU:n tasolla. Ne edellyttävät päätöksentekoa kansallisella tasolla prosessin loppuvaiheessa, eikä se kuulu unionin oikeuden soveltamisalaan. Lainsäädännölliset kannustimet eivät voi korvata taloudellista menestystä. On myös ehdotettu, että lastenlääkkeen myyntilupa saattaisi toimia tapauksissa, joissa edellytetään erityisesti lapsille sopivia valmistemuotoja tai annostuksia, mutta vaikka tämä oletamus toimiikin teoriassa, kokemus on osoittanut, ettei lastenlääkkeen myyntilupaa koskeva pakkausmerkintä estä täysin lääkäreitä määräämästä edelleen muita kuin lasten hoitoon mukautettuja valmisteita.

6. LASTENLÄÄKKEIDEN KUSTANNUKSET

Asetus lisää entisestään lääkeyritysten taakkaa, sillä siinä kehoitetaan yrityksiä suorittamaan lastenlääketutkimuksia, joita ne eivät ehkä olisi muuten suorittaneet. Tämä edellyttää lisäinvestointeja ja vaatimusten noudattamisen valvontaa. Asetuksessa tämä velvoite kuitenkin liitetään palkkiojärjestelmään, jotta yritykset voisivat saada ylimääräiset alkuvaiheen kustannukset takaisin suoja-aikojen pidentämisen avulla. EU:n järjestelmä eroaa tässä mielessä Yhdysvalloissa käytössä olevasta järjestelmästä, jossa Yhdysvaltain elintarvike- ja lääkeviraston (FDA) lastenlääkkeitä koskevien vaatimusten noudattamisesta ei myönnetä palkkioita lukuun ottamatta tapauksia, joissa yritys sitoutuu vapaaehtoisesti suorittamaan lisätutkimuksia FDA:n kirjallisen pyynnön jälkeen.

Palkkio annetaan sen jälkeen, kun lastenlääkkeitä koskeva tutkimusohjelma on saatu päätökseen ja sen tulokset ovat nähtävissä vastaavassa myyntiluvassa. Yritys on oikeutettu palkkioon, vaikka lastenlääketutkimusten tulokset eivät lopulta tukisikaan yhdisteen käyttöä lastenlääkkeenä, koska sillä on tarkoitus palkita itse tutkimus eikä tiettyä tutkimustulosta. Asetuksessa tehdään ero kahden tärkeimmän palkkion eli lisäsuojatodistuksen ja harvinaislääkkeeksi määrittelyn välillä. Ne ovat toisensa poissulkevia ja palvelevat eri tarkoituksia, mutta ne molemmat viivyttävät kilpailijoiden

valmisteiden tuloa markkinoille. Sen vuoksi palkkioiden seurauksena saatavan lisätuoton maksavat loppujen lopuksi kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien maksajat ja/tai potilaat, sillä yhteiskunta ei markkinayksinoikeuden pidennettynä kestoaikana hyödy kilpailun lisääntymisestä ja hintojen alenemisesta.

Yritys voi asetuksen 36 artiklan mukaan saada kuuden kuukauden jatkoajan lisäsuojatodistuksen voimassaoloon. Lisäsuojatodistukset ovat itsenäisiä sui generis -oikeuksia, jotka ovat sidoksissa peruspatentin olemassaoloon. Ne korvaavat patentin haltijalle myyntiluvan saamiseen kuluvan pitkähkön ajanjakson, jonka aikana patentin omistaja ei voi hyödyntää patenttia kaupallisesti. Lisäsuojatodistuksella taataan sen vuoksi patenttioikeutta muistuttava asema, jonka kesto vaihtelee (nollasta viiteen vuotta). Tätä kestoaikaa jatketaan lisäsuojatodistusta koskevalla palkkiolla tai se voidaan muuttaa positiiviseksi, jos se on aikaisemmin ollut negatiivinen¹². On kiinnostavaa huomata, että lainsäätäjä päätti käyttää valmisteiden patenttiasemaan liittyvää ulkopuolista palkkiojärjestelmää sen sijaan, että olisi käytetty sääntelytietojen suojaa koskevaa, erityisesti lääkkeisiin liittyvää palkkiojärjestelmää.

Harvinaislääkkeeksi määrittelyä koskevalla palkkiolla (37 artikla) tarkoitetaan harvinaislääkkeeksi määritellyn lääkkeen markkinayksinoikeuden keston jatkamista kahdella vuodella 12 vuoteen. Harvinaislääkkeille tarkoitetun palkkion käyttöönottoon oli yhtenä syynä se, että asetusehdotusta käsiteltäessä suurin osa harvinaislääkkeiksi määritellyistä valmisteista oli patenttisuojaamattomia. Sen vuoksi tuntui asianmukaiselta tarjota vaihtoehtoinen palkkio sen varmistamiseksi, että myös harvinaislääkkeiden valmistajilla voi olla mahdollisuus saada korvausta.

Asetuksen järjestelmä perustuu olettamukseen, että valmisteille, joihin sovelletaan vaatimusta lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman täytäntöönpanosta, voitaisiin myöntää palkkio sen jälkeen, kun lastenlääkkeen kehittäminen on saatu päätökseen. Kaikki yritykset eivät kuitenkaan todellisuudessa voineet saada palkkiota. Luvut osoittavat, että loppuun saatetuista tutkimusohjelmista vain 55 prosentille on tähän mennessä myönnetty palkkio. Useimmissa tapauksissa kyse oli lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkamisesta. Muutamissa tapauksissa oli myönnetty harvinaislääkkeille tarkoitettu markkinayksinoikeus. Vaikka palkkioita saavien valmisteiden osuuden odotetaan ajan mittaan kasvavan, kun yritykset alkavat suunnitella paremmin ja aikaisemmassa vaiheessa lastenlääkkeitä koskevaa tutkimustyötään, onnistumisaste nousee tuskin koskaan 100 prosenttiin.

6.1. Lisäsuojatodistusta koskeva palkkio

Lisäsuojatodistuksen keston pidentämistä pidetään usein kaikkein arvokkaimpana palkkiona. Yli 40 lääkkeelle oli vuoden 2016 loppuun mennessä myönnetty lisäsuojatodistusta koskeva palkkio, ja yritykset hakivat vastaavia todistuksia kansallisella tasolla. Kymmenen viime vuoden aikana myönnettyjen lisäsuojatodistusten kestoajan pidennysten määrä (yli 500) osoittaa, että yrityksille myönnetään usein palkkio jäsenvaltion patenttivirusastosta, josta ne ovat sitä hakeneet. Tämä viittaa siihen, että palkkiojärjestelmä toimii hyvin.

¹² Euroopan unionin tuomioistuin asiassa C-125/10 Merck Sharp & Dohme vastaan Deutsches Patent- und Markenamt, ECLI:EU:C:2011:812.

Seurauksena on kuitenkin ongelmia ja tehottomuutta, kun käytetään toiseen säädökseen perustuvaa ulkopuolista palkkiojärjestelmää. Lisäsuojatodistukset ovat esimerkiksi kansallisia palkkioita, mikä merkitsee, että niiden pidentäminen on myönnettävä sen jäsenvaltion patenttivirastossa, jossa lisäsuojatodistus on myönnetty, ja siksi menettelyä pidetään toisinaan tarpeettoman monimutkaisena.

Lisäsuojatodistuksen keston pidennystä on lisäksi haettava kaksi vuotta ennen todistuksen voimassaolon päättymistä. Joissakin tapauksissa yritykset menettivät tämän vuoksi palkkionsa, sillä ne eivät saaneet tutkimusohjelmaa ajoissa päätökseen. Toisaalta määräaika kannustaa yrityksiä nopeuttamaan lastenlääkkeiden tutkimusta ja takaa, että geneerisiä lääkkeitä valmistavat kilpailijat saavat tietää riittävän ajoissa suoja-ajan mahdollisesta pidentämisestä, joka saattaa vaikuttaa geneeristen kopioiden markkinoille saattamiseen.

Lisäsuojatodistusasetusta arvioidaan parhaillaan komission aloitteesta välineen hyödyllisyyden selvittämiseksi¹³. Arvioinnin tuloksia ja niiden vaikutuksia lisäsuojatodistusjärjestelmän tulevaisuuteen ei vielä tunneta, mutta tulosten odotetaan valmistuvan tulevina kuukausina. Mahdollisella nykyaikaistamisella tai uudelleenmitoittamisella saatetaan osittain korjata lisäsuojatodistusjärjestelmän tehottomuutta, mutta ne voivat vaikuttaa myös suoraan lastenlääkkeiden palkkiojärjestelmän toimintaan ja siten myös asetukseen itseensä. Sen vuoksi arvioinnin tulokset on otettava huomioon kaikissa asetusta koskevissa poliittisissa päätöksissä.

Lisäsuojatodistusta koskevien palkkioiden rahallinen arvo riippuu suurelta osin tietyn valmisteen kokonaistuotosta sen jakson aikana, jona valmiste on suojattu lisäsuojatodistuksella. Kilpailu geneeristen lääkkeiden kanssa siirtyy myöhemmäksi koko valmisteen (myös aikuisväestölle tarkoitetun lääkkeen) osalta, minkä ansiosta myyntiluvan haltija saa lisätuottoa pidemmän aikaa. Lääkkeiden myyntihuippu on aiemmin osunut tähän ajanjaksoon. Uudet markkinasuuntaukset voivat kuitenkin lyhentää tuottoaikaa. Tietyn valmisteen asema markkinoilla saattaa ajan mittaan heikentyä, kun samaan lääkeryhmään kuuluvia uusia innovatiivisia valmisteita saatetaan markkinoille.

Jotta voitaisiin arvioida yritysten palkkiosta saamaa taloudellista hyötyä, ensin on määritettävä kustannukset, joita yrityksille aiheutuu tutkimusohjelmavaatimuksen noudattamisesta. Komission teettämän ulkoisen tutkimuksen¹⁴ mukaan asetus aiheuttaa koko alalle arviolta yhteensä 2,1 miljardin euron kustannukset vuodessa. Tämä luku on johdettu 85 todellisen tutkimusohjelman pohjalta. T&K-kustannukset ovat keskimäärin yhteensä 18,9 miljoonaa euroa jokaista lastenlääkkeitä koskevaa tutkimusohjelmaa kohden, ja kukin tutkimusohjelma sisältää keskimäärin kolme kliinistä tutkimusta. Tämän lisäksi yrityksille aiheutuu noin 720 000 euroa muita kustannuksia alkuperäisen lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman toimittamisesta ja myöhemmin tehtävistä muutoksista.

Vaikka edellä esitetyt keskiarvot perustuvat suhteellisen suureen otokseen, yli- tai aliarvioinnin riskiä ei voida kuitenkaan kokonaan sulkea pois. Keskiarvoihin perustuvat arviot merkitsevät lisäksi, että hajontaa esiintyy, erityisesti kliinisten kokeiden (vaiheet II

¹³ PO GROW, Optimising the Internal Market's industrial property legal framework relating to supplementary protection certificates (SPC) and patent research exemptions, 16.2.2017.

¹⁴ Technopolisin tutkimus, luku 2.

ja III) kustannuksissa, joiden osuus T&K-kustannuksista on suuri¹⁵. Luvut osoittavat kuitenkin, että asetuksen alalle aiheuttamat lisäkustannukset lisäävät vain vähän lääkkeiden kehittämisen kokonaiskustannuksia.

Analyyssissa käsiteltiin erityisesti kahdeksaa lääkettä, joiden perusteella kyseisiä kustannuksia verrattiin lisäsuojatodistusta koskevan palkkion arvoon. Niihin sisältyi valmisteita, joiden lisäsuojatodistuksen voimassaoloaika oli pidennetty ja joiden suoja päättyi ennen vuoden 2014 loppua. Otos on luonnostaan melko pieni, koska valmisteista, joita koskeva tutkimusohjelma on saatettu päätökseen, vain vähäinen osa on menettänyt markkinayksinoikeutensa ja voi siten tarjota tietoa kyseisen menetyksen vaikutuksista tuottoon. Vaikka kyseisiä valmisteita koskevia lukuja on ehkä tulkittava varoen, kun otetaan huomioon, että yritykset ovat aiempina vuosina saattaneet asettaa etusijalle valmisteita, joiden arvioitu lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkamisesta saatava tuotto oli suurin, ne tarjoavat kiinnostavia näkökulmia palkinnon taloudellisen arvoon, kun verrataan todellista tuottoa tilanteessa, jossa lisäsuojatodistuksen voimassaoloa on jatkettu, hypoteettiseen tuottoon ilman kyseisen voimassaolon jatkamista.

Tiedot osoittavat, että markkinayksinoikeuden lakattua merkkilääkkeiden hinnat alkavat usein laskea ensimmäisen vuosineljänneksen aikana, mutta vähäisessä mittakaavassa (enintään 20 prosenttia), ja jatkavat sitten edelleen laskuaan. Valmisteiden ja maiden välillä on huomattavia eroja, jotka todennäköisimmin liittyvät tietyn lääkkeen markkinoiden kilpailukykyyn ja/tai geneeristä substituuutiota kannustaviin kansallisiin politiikkoihin, ja niiden seurauksena lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkamisen taloudellinen arvo vaihtelee suuresti, kun tarkastellaan sen osuutta kokonaistuotosta (10–93 prosenttia). Kyseisten valmisteiden yhteydessä lisäsuojatodistusta koskevan palkkion korjattu taloudellinen arvo on yhteensä 926 miljoonaa euroa. Osa tuotosta on suunnattu erityisesti joihinkin otoksen sisältämiin läpimurtovalmisteisiin.

Vaikka tätä lukua voidaan verrata tutkimusohjelmakohtaisesti laskettuihin keskimääräisiin T&K-kustannuksiin (18,9 miljoonaa euroa), yksityiskohtaisemmassa lähestymistavassa voidaan tarkastella kahdeksan valmisteen tuotekohtaista kustannus–hyötysuhdetta. Tässä tapauksessa hyötyä, jota lastenlääkkeiden tehokkaamman kehittämisen arvioidaan tuottavan yhteiskunnalle ja lasten terveydelle, verrataan kustannuksiin, joita yhteiskunnalle aiheutuu yrityksen palkkiojärjestelmän kautta saamasta pidennetystä monopoliasemasta.

Tämäntyyppinen vertailu on luonteeltaan kokeileva, sillä siinä joudutaan määrittämään rahallinen arvo myönteisille vaikutuksille, joilla tarkoitetaan lasten hoidon tehostamista ja lääkkeiden alkuperäistarkoituksesta poikkeavan käytön vähenemistä, sekä lääkkeiden mahdollisille haittavaikutuksille. Taloudellisessa tutkimuksessa esitetyn mallin perusteella kahdeksasta valmisteesta kahdella on terveysjärjestelmien kannalta katsottuna erittäin edullinen kustannus–hyötysuhde, kun se lasketaan kymmenen vuoden pituisen jakson ajalta. Toisin sanoen yhteiskunnalle ja terveydelle koitua rahallinen hyöty on monopoliaseman pidentämisestä johtuvia ylimääräisiä kustannuksia suurempi. Kaikkien muiden valmisteiden kustannus–hyötysuhde oli epäedullinen kymmenen vuoden aikana. Tämä koski erityisesti valmisteita, joita koskeva tutkimusohjelma ei johtanut uuden lapsia koskevaa käyttöaiheen hyväksymiseen. Vaikka onkin edelleen hyödyllistä varmistaa, ettei tiettyä aikuisten lääkettä pitäisi käyttää lasten hoidossa, tällaisen tiedon

¹⁵ Technopolisin tutkimus, luku 2.2.

taloudellinen arvo on paljon pienempi verrattuna valmisteisiin, jotka tarjoavat lapsipotilaille uusia hoitovaihtoehtoja.

Edellä esitettyjä tuotekohtaisia tuloksia on ehkä kuitenkin arvioitava uudelleen sellaisten valmisteiden osalta, joita varten yritykset joutuivat toteuttamaan lastenlääkkeitä koskevan tutkimusohjelman mutta joille ei myönnetty palkkiota kyseisenä ajanjaksona (noin 45 prosenttia). Niiden perusteella saatiin käyttöön arvokasta tietoa lastenlääkkeistä ilman, että yhteiskunta olisi joutunut osallistumaan monopoliaseman pidentämisestä johtuviin kustannuksiin. Jos kyseiset valmisteet lasketaan mukaan, tulokset paranevat, mutta kustannus-hyötysuhde on silti negatiivinen.

Asetuksella voi lisäksi olla taloudellisia heijastusvaikutuksia, jotka ovat seurausta uusien ja parempien lääkkeiden kehittämiseen suunnattujen T&K-investointien lisäämisestä. Ne kannustavat tekemään uusia investointeja ja edistävät työpaikkojen luomista, kasvua ja eri alojen välistä innovatiivista toimintaa. Varovaisen arvion mukaan 2,1 miljardin euron suuruinen vuotuinen investointi lastenlääkkeiden tutkimukseen ja kehittämiseen voisi kymmenessä vuodessa tuottaa yhteiskunnalle yhteensä noin 6 miljardia euroa¹⁶. Tämän arvion mukaan yhteiskunnan saama hyöty on merkittävästi lisäsuojatodistuksen jatkamisen taloudellista arvoa suurempi, minkä perusteella voidaan olettaa, että yhteiskunnan asetuksesta saama rahallinen hyöty on monopoliaseman pidentämisestä aiheutuvia kustannuksia suurempi.

6.2. Harvinaislääkkeeksi määrittely

Tähän mennessä seitsemälle valmisteelle on myönnetty harvinaislääkkeille tarkoitettu palkkio, joka koskee markkinayksinoikeuden jatkamista kahdella lisävuodella. Ensimmäisen kerran se myönnettiin vuonna 2014. Joissakin tapauksissa yritykset ovat kuitenkin vapaaehtoisesti peruuttaneet valmisteen harvinaislääkkeeksi määrittelyn, jotta se voisi saada lisäsuojatodistusta koskevan palkkion. Tähän saattaa olla syynä se, että lisäsuojatodistusta koskeva palkkio suojaa tietyn yhdisteen koko tuoteryhmää käyttöaiheesta riippumatta, kun taas harvinaislääkkeille tarkoitettulla palkkiolla suojataan vain harvinaisten sairauksien hoitoon tarkoitettuja valmisteita. Jos lääkkeellä hoidetaan sekä tavallisia että harvinaisia sairauksia, lisäsuojatodistukselle myönnettävän kuuden kuukauden jatkoajan tuotto voi sen vuoksi olla suurempi kuin tuotto, joka saadaan harvinaislääkkeen markkinayksinoikeuden kahden lisävuoden aikana.

Yksi vaikuttava tekijä voi olla se, että yhä useammat hiljattain hyväksytyt harvinaislääkkeet ovat patenttisuojattuja (tällä hetkellä yli 90 prosenttia), mikä on myönteistä, sillä se osoittaa, että harvinaislääkeasetuksella käyttöön otettu järjestelmä houkuttelee uusiin tutkimuksiin perustuvia innovatiivisia valmisteita. Toisaalta se tuo esiin kyseisen palkkion heikkouden, sillä palkkio on suunnattu lähinnä patenttisuojamattomille lääkkeille, eikä siihen sisälly joustomahdollisuutta, jonka avulla yritykset voisivat säilyttää valmisteen harvinaislääkeaseman, vaikka ne valitsisivat lisäsuojatodistusta koskevan palkkion.

Tässä vaiheessa ei voida ilman lisätutkimuksia arvioida harvinaislääkkeelle tarkoitettun palkkion taloudellista arvoa samansuuruisen otoksen perusteella kuin lisäsuojatodistusta koskevaa palkkiota, kun otetaan huomioon, että useimmat lääkkeet ovat yhä suojattuja. Markkinayksinoikeuden menetyksen todellista vaikutusta tuottoon ei sen vuoksi ole

¹⁶ Technopolisin tutkimus, luku 6.

mahdollista analysoida. Ei esimerkiksi ole varmuutta siitä, että geneerisiä lääkkeitä saapuisi markkinoille yhtä nopeasti kuin muiden kuin harvinaislääkkeiden tapauksessa tai lainkaan, kun otetaan huomioon sairauden harvinaisuus ja merkityksellisten markkinoiden pienuus. Taloudellisen arvon arvioinnissa voidaan kuitenkin käyttää samantyyppistä taloudellista mallia kuin laskettaessa lisäsuojatodistusta koskevan palkkion arvoa. Tärkeimpänä erona on se, että jatkoajan pituus on kaksi vuotta eikä kuusi kuukautta.

7. TÄYTÄNTÖÖNPANON PARANTAMINEN

Asetuksessa annetaan EMAlle ja sen lastenlääkekomitealle ensisijainen vastuu lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien, lykkäysten ja poikkeuslupien käsittelystä. EMAlla on näin ollen tärkeä rooli asetuksen täytäntöönpanossa. Täytäntöönpanon ensimmäisistä vuosista on pyritty ottamaan opiksi ja tutkimusohjelmien lausuntoja on yksinkertaistettu, jotta muutoksiin olisi vähemmän tarvetta, jos ohjelmaa ei muokata merkittävästi. Nämä toimet ovat auttaneet vähentämään muutosten kokonaismäärää, vaikka luvut osoittavat, että kutakin lastenlääkkeitä koskevaa tutkimusohjelmaa muutetaan keskimäärin ainakin kerran. Tavallisimpia muutosten syitä ovat määräajat (43 prosenttia) ja tutkimukseen ilmoittautuneiden lasten määrä (14 prosenttia).

Lastenlääkettä koskevan tutkimusohjelman muotoa ja sisältöä koskevia komission ohjeita tarkistettiin vuonna 2014¹⁷, ja niihin sisällytettiin toimenpiteitä tutkimusohjelmien hyväksymisprosessin tehostamiseksi. EMA järjesti lisäksi yritysten kanssa vuonna 2015 varhaista vuorovaikutusta edistäviä kokouksia, jotta lastenlääkkeisiin liittyvät tarpeet otettaisiin huomioon varhaisessa vaiheessa lääkkeitä kehitettäessä. Tämän kokemuksen pohjalta arvioidaan tällä hetkellä uudelleen ajatusta kehittämiseen liittyvistä, hankelähtöisistä keskusteluista, joissa voitaisiin käsitellä asianmukaista ajoitusta ja lastenlääkkeisiin liittyvien toimien sisällyttämistä yleiseen lääkkeiden kehittämiseen.

EMAn koordinoituvuudessa keskeistä on pyrkiä varmistamaan, että valmisteista keskustellaan ja tietoja vaihdetaan eri komiteoiden ja työryhmien välillä niiden toimivaltuuksien puitteissa. Lastenlääkkeiden kehittämisen alalla tämä koskee erityisesti lastenlääkekomitean yhteistyötä muiden tieteellisten komiteoiden tai neuvoo-antavien työryhmien kanssa. Parannustoimia toteutetaan jatkuvasti, jotta tällainen yhteistyö olisi mahdollista.

Eri alueiden välisen yhteistyön lisäämiseksi perustettiin vuonna 2007 keskustelufoorumi, jossa vaihdetaan säännöllisesti tietoja lähinnä teleneuvotteluissa (lastenlääkeryhmä). Sen jäseniä ovat muun muassa Yhdysvaltain elintarvike- ja lääkevirasto sekä EMA. Ryhmään ovat myöhemmin liittyneet Japanin lääkkeitä ja lääkinnällisistä laitteista vastaava virasto (PMDA) ja Kanadan terveysministeriö (Health Canada) sekä tarkkailijana Australian TGA-virasto (Therapeutic Goods Administration). EMA ja FDA ottivat vuonna 2013 käyttöön niin sanotut yhteiset selvitykset lastenlääkkeiden kehittämissuunnitelmista, jotka on toimitettu sekä EMAlle että FDA:lle ja jotka molemmat virastot sen vuoksi tarkistavat. Vaikka virastojen väliset selvitykset ja keskustelut ovat epävirallisia ja ei-sitovia, niiden avulla on onnistuttu lähentämään näkemyksiä ja välttämään lastenlääkkeiden kehittämisohjelmille asetettavat ristiriitaiset vaatimukset.

¹⁷ Lastenlääkettä koskevan tutkimusohjelman hyväksymistä tai muuttamista koskevien hakemusten muotoa ja sisältöä koskevat ohjeet (EUVL C 338, 27.9.2014, s. 1).

Lääkkeiden kehittämisen keskeisten näkökohtien käsitteleminen on kuitenkin yhä haasteellista EMAlle, sen lastenlääkekomitealle ja yrityksille, sillä kaikkia tietoja ei vielä ole saatavilla ja keskustelut perustuvat yhä oletuksiin ja vähäisiin tietoihin. Tämä pitää erityisesti paikkansa, kun otetaan huomioon, että lastenlääkkeiden kehittämissuunnitelmien yhtenä tavoitteena on saada oikeusvarmuus sääntelyviranomaisten yrityksiin kohdistamista odotuksista. Toisaalta lastenlääkkeiden kehittäminen voidaan sisällyttää saumattomasti lääkkeiden yleiseen kehittämiseen vain varhaisen suunnittelun avulla sen sijaan, että se otettaisiin huomioon jälkikäteen. Tämän pitäisi periaatteessa johtaa myös kannattavampaan ja tehokkaampaan tutkimus- ja kehitystyöhön, sillä näin voitaisiin esimerkiksi harkita lapsipotilaiden (esimerkiksi nuorten) ottamista mukaan aikuisväestössä tehtäviin tutkimuksiin ja varhaisiin lääkemuotojen kehittämissuunnitelmiin, mikä vähentäisi kehittämisen kokonais kustannuksia.

8. LAPSIA KOSKEVIEN KLIINISTEN KOKEIDEN LISÄÄMINEN

Asetuksella pyritään varmistamaan, että lääkkeiden laadusta, turvallisuudesta ja tehokkuudesta saadaan näyttöä ennen kuin niitä käytetään lapsiväestössä. Lapsia koskevia kliinisiä tutkimuksia joudutaan tämän vuoksi tekemään enemmän ennen lääkkeiden hyväksymistä. Saatavilla olevat luvut osoittavat tutkimusten määrän kasvaneen huomattavasti. Lapsia koskevien kliinisten kokeiden osuus kasvoi EU:n kliinisten tutkimusten tietokannassa (EudraCT) 50 prosentilla 8,25 prosentista 12,4 prosenttiin vuosina 2007–2016. Tähän mennessä laiminlyötyjä lasten alaryhmiä koskevien tutkimusten määrä on myös lisääntynyt huomattavasti. Ennen asetusta ei lääkkeitä kehitettäessä tehty juuri lainkaan vastasyntyneisiin kohdistuvia tutkimuksia.

EU:n lainsäädännöllä voidaan yleensä ottaen varmistaa hyvin, että lastenlääkkeitä koskeva tutkimustyö on tieteellisesti pätevää ja eettisesti hyväksyttävää. EMAn lastenlääkekomitea tarkastelee näitä seikkoja arvioidessaan lastenlääkkeitä koskevia tutkimusohjelmia, mutta niitä käsittelevät myös kansalliset eettiset komiteat ja sääntelyviranomaiset, jotka vastaavat yksittäisten kliinisten kokeiden hyväksymisestä.

Asetus on edistänyt asiantuntijoiden keskustelua lapsiin kohdistuvien tutkimusten optimaalisesta suunnittelusta. Tässä yhteydessä on käynnistetty hyvien käytäntöjen vaihtoa koskevia aloitteita ja laadittu uusia tieteellisiä ohjeita. Suunnitteluun on vaikuttanut myös tutkimusverkostojen verkoston perustaminen EMAn yhteyteen (Enpr-EMA)¹⁸. Enpr-EMA on menestyksekkään työnsä ansiosta laajentunut nyt Euroopan ulkopuolelle, ja siihen on rekisteröitynyt amerikkalaisia, kanadalaisia ja japanilaisia kansallisia ja monialaisia verkostoja.

Asetuksella on myös kannustettu kehittämään edelleen innovatiivisia tutkimusratkaisuja sekä mallintamis- ja simulointisuunnitelmia tutkimuksissa tarvittavien osallistujien määrän supistamiseksi. Lisäksi asetusta on kiinnittänyt huomion keskusteluun siitä, minkälainen rooli lapsilla pitäisi olla tutkimusta koskevassa päätöksenteossa. Aloitteet koskevat esimerkiksi nuorten neuvonantavien ryhmien perustamista, potilaille ja vanhemmille suunnattujen, kliinisiä tutkimuksia koskevien tietojen käsittelyä sekä käytännön kysymyksiä, kuten suostumuslomakkeita.

¹⁸ Euroopan lääkeviraston lastenlääketutkimusta käsittelevä eurooppalainen verkosto.

Lapsia koskeviin tutkimuksiin sisältyy silti yhä erityisiä haasteita. Esimerkiksi rekrytointiongelmien viivästyttävät usein tutkimusten suorittamista ja loppuun saattamista. Lapsiin kohdistuvat tutkimukset ovat usein myös monikeskustutkimuksia, joissa on toisinaan vain muutamia potilaita tutkimuspaikkaa kohden. Tämä voi aiheuttaa toiminnallisia haasteita, jotka liittyvät muun muassa tarvittavan henkilöstön ja asiantuntemuksen säilyttämiseen tutkimuspaikassa. Innovatiivisia lääkkeitä koskeva aloite on EU:n rahoittama julkisen ja yksityisen sektorin kumppanuushanke, ja sen yhteydessä käynnistettiin vuoden 2016 lopussa hanke lapsiin kohdistuvien kliinisten tutkimusten infrastruktuurin tukemiseksi. Hankkeessa luodaan lapsiin kohdistuvia kliinisiä tutkimuksia käsittelevä Euroopan laajuinen verkosto¹⁹.

Lisäksi Euroopan komissio tukee äskettäin käynnistämällään eurooppalaisia osaamisverkostoja koskevalla aloitteella²⁰ virtuaalisia verkostoja, jotka kokoavat yhteen terveydenhuoltopalvelujen tarjoajia eri puolilta Eurooppaa käsittelemään monitekijäisiä ja harvinaisia sairauksia, jotka edellyttävät pitkälle erikoistunutta hoitoa sekä osaamisen ja resurssien keskittämistä. Jotkin hankkeen temaattisista verkostoista keskittyvät erityisesti harvinaisiin lastentauteihin. Niillä edistetään yhteistyötä ja valmistellaan uusia kliinisiä tutkimuksia, joita ei ehkä aiemmin ollut mahdollista toteuttaa.

Asetus on kaiken kaikkiaan edistänyt lastenlääketutkimusta. On kuitenkin myönnettävä, että tämäntyyppinen tutkimus on suuntautunut tuotekehitykseen. Joidenkin sairauksien tai hoitotarkoitusten yhteydessä taustalla olevaa sairautta ei tunneta vielä riittävästi. Varsinaisten sairauksien perustutkimusta olisi sen vuoksi lisättävä, jotta saataisiin hyödyllisiä valmiuksia ja tietoa asianmukaiseen tuotekehitykseen. Tätä ei voida asetuksen avulla taata, vaan se edellyttää julkisia ja yksityisiä lisätoimia ja rahoitusta.

9. TULEVAISUUDEN HAASTEET

Lääkkeiden kehittämistapa saattaa ajan mittaan muuttua tieteen ja tekniikan kehityksen sekä liiketoimintamallien muutosten vuoksi. Viimeaikaisiin kehityssuuntauksiin kuuluu lääkkeiden monivaiheinen kehittäminen ja räätälöidyn hoidon käsite, jossa lääkkeiden mahdollisimman tehokas käyttö pyritään varmistamaan kohdentamalla ne potilaiden yksilöllisten geenien mukaisesti ja takaamaan näin, että potilaat todella reagoivat hoitoon. Markkinoille saattaa myös saapua yhä enemmän teknologiayrityksiä, jotka tarjoavat hoitojen tueksi teknologiapohjaista potilastukea ja -palveluja.

Vaikka useimmat näistä uusista kehitysmalleista näyttävät sopivan täysin yhteen asetuksella käyttöön otetun mekanismin kanssa, ne saattavat vaikuttaa siihen, miten yritykset päättävät investointiprioriteeteista ja suunnittelevat kliinisiä tutkimuksia. Kyseiset suuntaukset eivät todennäköisesti vaikuta asetukseen lyhyellä aikavälillä, koska kehittämisen loppuvaiheessa olevien uusien lääkkeiden määrä on historiallisesti katsottuna suuri. Ennusteiden mukaan vuosittain otetaan käyttöön 45 uutta vaikuttavaa ainetta vuoteen 2021 saakka. Lastenlääkkeitä koskeviin tutkimusohjelmiin on kuitenkin sisällytettävä mahdollisuus tarvittavaan joustoon näiden suuntausten huomioon ottamiseksi, samalla kun varmistetaan, että lapset hyötyvät täysin kehittymässä olevista ratkaisuksista, kuten räätälöidystä hoidosta.

¹⁹ <https://www.imi.europa.eu/>

²⁰ Aloite perustettiin potilaiden oikeuksien soveltamisesta rajatylittävissä terveydenhuollossa annetun direktiivin 2011/24/EU 12 artiklan nojalla, https://ec.europa.eu/health/cross_border_care/policy_fi

Yksityiskohtaisemmalla tasolla on myös otettava huomioon, että asetuksen täytäntöönpano vaatii huomattavia resursseja ei ainoastaan EMAlta²¹, vaan myös jäsenvaltioilta. Niiden on nimettävä jäseniä lastenlääkekomiteaan ja osallistuttava lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien tai yritysten toimittamien, aikaisempien tai uusien lapsia koskevien tutkimusten tulosten arviointiin. Asetuksen mukaan hakijat voivat hyödyntää näitä menettelyjä maksutta. Tämä kuuluu lastenlääkkeiden kehittämistä edistäviin kannustimiin. Vaikka ei ole näyttöä siitä, että maksujen puuttuminen olisi toistaiseksi vaikuttanut kielteisesti arviointien laatuun, sen pitkäaikaisia vaikutuksia järjestelmän moitteettomaan toimintaan ei vielä tunneta. Komissio laatii parhaillaan EMAn maksujärjestelmän arviointia, jossa se tarkastaa myös lastenlääkkeitä koskevien tutkimusohjelmien arvioinnin kustannukset.

10. PÄÄTELMÄT

Lastenlääkeasetus on vaikuttanut huomattavasti lastenlääkkeiden kehittämiseen EU:ssa. Se on varmistanut, että lastenlääkkeiden kehittämisestä on tullut olennainen osa lääkkeiden yleistä kehittämistä. Tähän tulokseen ei olisi päästy ilman erityistä lainsäädäntöä, ja se osoittaa asetuksen olevan edelleen tarkoituksenmukainen. Asetuksen täytäntöönpanon parantamiseksi toteutetut toimenpiteet ovat lisäksi ajan mittaan vahvistaneet asetuksen tehokkuutta.

Asetuksen taloudelliset tulokset ovat sosioekonomiselta kannalta katsottuna kaiken kaikkiaan myönteisiä, ja ne osoittavat tällaisen suoran investoinnin soveltuvan lastenlääkkeiden saatavuuden parantamiseen. Velvoitteiden ja palkkioiden yhdistelmä vaikuttaa tehokkaalta, ja se auttaa siirtämään painopisteen lastenlääkkeiden kehittämiseen. Palkkioita on myönnetty kuitenkin vain 55 prosentille loppuun saatetuista lastenlääkkeitä koskevista tutkimusohjelmista, ja joissakin tapauksissa korvaukset ovat olleet liiallisia tai liian vähäisiä, mikä on osoitus nykyisen järjestelmän rajoituksista. Lisäksi lastenlääkkeen myyntilupa ja siihen liittyvä erityispalkkio eivät ole olleet toimivia.

Lastenlääkkeitä koskeva tutkimus on lisääntynyt ja nykyisin valmistetaan yhä enemmän lääkkeitä, joilla on erityisesti lapsia koskevia käyttöaiheita. Tällainen kehitys on lupaavaa ja sillä varmistetaan, että aikuisten lääkkeiden alkuperäistarkoituksesta poikkeava käyttö lapsiväestössä vähenee ajan mittaan. Nämä myönteiset tulokset eivät kuitenkaan jakaudu tasaisesti kaikkien hoitotarkoitusten kesken, vaan ne keskittyvät joillekin aloille ja liittyvät usein pikemminkin aikuisten kuin lasten lääkkeiden tutkimusprioriteetteihin.

Tämä osoittaa, että asetus toimii parhaiten aloilla, joilla aikuis- ja lapsipotilaiden tarpeet ovat päällekkäisiä. Uusia merkittäviä hoitokeinoja ei usein ole vielä onnistuttu kehittämään varsinkaan sellaisiin sairauksiin, jotka ovat harvinaisia ja/tai joita esiintyy vain lapsilla ja joita monissa tapauksissa tuetaan yhtä lailla harvinaislääkkeitä koskevalla lainsäädännöllä. Asiaa on tutkittava edelleen, jotta selvitetään, miksi näin on ja mistä syystä harvinaislääkkeille tarkoitettulla palkkiolla ei aina pystytä edistämään lastenlääkkeiden kehittämistä samalla tavoin kuin aikuisten harvinaislääkkeiden kehittämistä.

²¹ Asetuksen 48 artiklan mukaan EU:n talousarviosta EMAlle osoitetulla maksuosuudella tuetaan EMAn lastenlääkkeisiin liittyvää toimintaa.

Komissio aikoo tästä syystä perehtyä ennen mahdollisten muutosten esittämistä lähemmin harvinaislääkeasetuksen ja lastenlääkeasetuksen yhteisvaikutuksiin. Tätä varten laaditaan yhteinen arviointi näistä kahdesta säädöksestä, joiden tarkoituksena on tukea lääkkeiden kehittämistä alaryhmille, joilla on erityistarpeita. Kun otetaan huomioon, että tässä selvityksessä mainitut heikkoudet liittyvät usein harvinaisiksi laskettaviin lastentauteihin, vain tämäntyyppisellä yhteisellä pyrkimyksellä voidaan taata, että tarpeen tullen muokataan oikeita parametrejä.

Tämä selvitys ei ole päätepiste vaan välttämätön välivaihe keskustelussa, jossa käsitellään lastenlääkkeiden ja harvinaislääkkeiden tulevia parametrejä koskevaa yhteistä näkemystä. Prosessia tuetaan lisäarvioinnilla, jonka tulokset on tarkoitus saada valmiiksi vuoteen 2019 mennessä, jotta seuraava komissio voi tehdä perustellun päätöksen mahdollisista poliittisista vaihtoehdoista. Sen avulla lastenlääkeasetuksen lisäsuojatodistusta koskevasta arvioinnista saatavat tulokset voidaan myös ottaa huomioon lastenlääkeasetuksen tulevassa soveltamisessa.

Komissio on tällä välin sitoutunut toteuttamaan konkreettisia toimia sisältävän myönteisen toimintasuunnitelman, jolla voidaan tehostaa tämänhetkistä soveltamista ja täytäntöönpanoa tarvittaessa yhdessä EMAn kanssa²². Toimintasuunnitelma sisältää seuraavat toimet:

- lisätään sellaisten uusien valmisteiden läpinäkyvyyttä, joille on hyväksytty lapsia koskeva käyttöaihe
- analysoidaan lykkäysten käytöstä saatuja kokemuksia ja harkitaan käytännön muutoksia, jotta lastenlääkkeitä koskevat tutkimusohjelmat voitaisiin saattaa nopeammin päätökseen
- tarkistetaan lastenlääkkeiden tutkimusohjelmia koskevien hakemusten käsittelyn prosesseja ja odotuksia sekä tarvittaessa muokataan komission vastaavaa ohjetta
- selvitetään mahdollisuuksia käsitellä lastenlääkkeiden tarvetta avoimessa ja läpinäkyvässä vuoropuhelussa, johon osallistuvat kaikki asiaankuuluvat sidosryhmät, kuten tutkijat, terveydenhuoltopalvelujen tarjoajat, potilaat, hoitajat, lastenlääkkeitä koskevan kliinisen tutkimuksen verkostot, teollisuus ja sääntelyviranomaiset
- esitetään säännöllisesti tietoa lastenlääkkeisiin liittyvästä kehityksestä ja suuntauksista EU:ssa
- edistetään kansainvälistä yhteistyötä ja yhdenmukaistamista.

Lisäksi tuetaan edelleen lapsille suunnattua laadukasta terveydenhoitoa ja tutkimustyötä toteuttamalla hankkeita, muun muassa eurooppalaisia osaamisverkostoja, jotka liittävät yhteen terveydenhuollon tarjoajia ja osaamiskeskustoja. Tällaisilla verkostoilla on mahdollisuus parantaa merkittävästi diagnoosin saantia ja hoitoa lyhyellä aikavälillä sekä vaikuttaa lasten terveyteen.

²² Tässä yhteydessä on mahdollisesti otettava huomioon toiminnan jatkuvuuden prioriteetit EMAn siirtyessä uuteen toimipaikkaan.