



Bryssel 26.4.2023
COM(2023) 190 final

**KOMISSION TIEDONANTO EUROOPAN PARLAMENTILLE, NEUVOSTOLLE,
EUROOPAN TALOUS- JA SOSIAALIKOMITEALLE JA ALUEIDEN
KOMITEALLE**

**Lääkelainsäädännön uudistaminen ja toimenpiteet mikrobilääkeresistenssin
torjumiseksi**

1. Johdanto

EU:n lääkelainsäädännössä on yli 50 vuoden ajan säädelty lääkkeiden myyntilupia asettamalla niille mahdollisimman korkeat laatu-, turvallisuus- ja tehokkuusvaatimukset. Samalla lainsäädännöllä on edistetty sisämarkkinoiden toimintaa ja lääketeollisuuden kilpailukykyä. Toimintaympäristön muutosten sekä covid-19-pandemiasta ja Venäjän hyökkäyssodasta Ukrainassa saatujen kokemusten vuoksi on kuitenkin selvää, että lääkkeitä koskevaa EU:n sääntelykehystä on nykyaikaistettava, jotta siitä tulisi entistä kestävämpi, oikeudenmukaisempi ja kilpailukykyisempi.

Tällä hetkellä EU:ssa myyntiluvan saaneet lääkkeet eivät tavoita potilaita riittävän nopeasti eivätkä ne ole tasapuolisesti potilaiden saatavilla kaikissa jäsenvaltioissa. Merkittävää puutetta liittyy myös täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin vastaamiseen, harvinaissairauksiin ja sellaisten uusien mikrobilääkkeiden kehittämiseen, joilla voitaisiin torjua jatkuvasti yleistyvää mikrobilääkeresistenssiä. Lisäksi innovatiivisten hoitojen korkeat hinnat asettavat haasteita lääkkeiden nopealle ja kohtuuhintaiselle saatavuudelle. Eräs kasvava huolenaihe on myös lääkepula, jolla voi olla vakavia seurauksia potilaille.

Jotta EU olisi edelleen houkutteleva investointikohde ja maailman johtava lääkkeiden kehittäjä, sen on mukautettava sääntelyjärjestelmäänsä toimintaympäristön kehitykseen, kuten digitaaliseen muutokseen ja uusiin lääkkeiden antomenetelmiin. EU:n kilpailukykyä on tuettava vähentämällä hallinnollista taakkaa ja yksinkertaistamalla menettelyjä. Jotta uudistus olisi vihreän kehityksen ohjelman ja vihreän talouden tavoitteiden mukainen, siinä on otettava huomioon lääkkeiden ympäristövaikutukset.

Komissio teki marraskuussa 2020 esityksen Euroopan lääkestrategiasta¹, jonka tavoitteena on luoda toimintaympäristö, jossa otetaan huomioon tulevaisuuden vaatimukset ja asetetaan potilaat keskiöön ja jonka ansiosta EU:n teollisuus voi innovoida, kukoistaa ja säilyttää maailmanlaajuisen johtoasemansa. EU:n lääkealan ekosysteemi, joka kestää kriisejä ja soveltuu nykypäivän ja huomisen haasteisiin, on yksi kansalaisten hyväksi toimivan vahvan Euroopan terveysunionin² keskeisistä pilareista. Sillä täydennetään muita keskeisiä aloitteita, joita ovat muiden muassa EU:n terveysturvakehyksen vahvistaminen rajat ylittäviä terveysuhkia ja EU:n terveysvirastojen toimivaltuuksien laajentamista koskevalla uudella lainsäädännöllä, terveyshätätilanteiden valmiusviranomaisen (HERA) perustaminen sekä EU:n syöväntorjuntasuunnitelma ja eurooppalainen terveysdata-avaruus.

Jotta näihin haasteisiin voidaan vastata kattavasti EU:n tasolla, komissio ehdottaa EU:n lääkelainsäädännön kunnianhimoista tarkistamista. Tarkistuksella on viisi päätavoitetta:

1. Varmistetaan turvallisten, tehokkaiden ja kohtuuhintaisten lääkkeiden nopea ja tasapuolinen saatavuus kaikille potilaille kaikkialla EU:ssa.
2. Parannetaan toimitusvarmuutta ja varmistetaan, että lääkkeitä on aina potilaiden saatavilla riippumatta heidän asuinpaikastaan EU:ssa.
3. Luodaan houkuttelevat, innovointia ja kilpailukykyä edistävät olosuhteet lääkkeiden tutkimukselle, kehittämiselle ja tuotannolle Euroopassa.
4. Tehdään lääkkeitä ympäristön kannalta kestävämpiä.

¹ Komission tiedonanto, Euroopan lääkestrategia, COM/2020/761 final.

² https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/priorities-2019-2024/promoting-our-european-way-of-life/european-health-union_fi

5. Torjutaan mikrobilääkeresistenssiä soveltamalla yhteinen terveys -lähestymistapaa, jossa otetaan huomioon niin ihmisten terveys, eläinten terveys kuin ympäristö.

Näiden tavoitteiden saavuttamiseksi komissio ehdottaa EU:n lääkelainsäädännön uudistamista. Uudistukseen sisältyy ehdotus uudeksi direktiiviksi ja ehdotus uudeksi asetukseksi, joilla nykyaikaistetaan, yksinkertaistetaan ja korvataan seuraavat voimassa olevat säädökset: direktiivi 2001/83/EY³ ja asetus (EY) N:o 726/2004⁴ (niin sanottu yleinen lääkelainsäädäntö), asetus (EY) N:o 1901/2006 lastenlääkkeistä (lastenlääkeasetus)⁵ ja asetus (EY) N:o 141/2000 harvinaislääkkeistä (harvinaislääkeasetus)⁶. Lisäksi komissio antaa ehdotuksen mikrobilääkeresistenssiä koskevaksi neuvoston suositukseksi, jolla täydennetään ja vahvistetaan EU:n toimia.

Läakelainsäädännön uudistuksella voidaan luoda potilaskeskeiset, tulevaisuuteen suuntautuneet ja kestävät sääntelypuitteet, joista on hyötyä niin potilaille, yhteiskunnalle kuin terveydenhuoltojärjestelmille Euroopassa. Samalla varmistetaan, että EU:n teollisuus pysyy maailmanlaajuisesti kilpailukykyisenä. Jotta muutos parempaan olisi mahdollinen, tarvitaan yhteistyötä eri sidosryhmien välillä. EU:n on säilytettävä maailmanlaajuinen johtoasemansa ja vahvistettava selviytymiskykyään lääkealalla, ja siinä teollisuudella on olennaisen tärkeä rooli sekä potilaiden tarpeiden täyttämisen että innovoinnin ja kilpailukykyyn edistämisen kannalta. Ehdotetussa uudistuksessa hyödynnetään kaikkien asiaankuuluvien sidosryhmien laajoja kuulemisia⁷.

Tässä tiedonannossa esitetään yleiskatsaus lääkelainsäädännön ehdotetun uudistuksen ja mikrobilääkeresistenssiä koskevan neuvoston suosituksen keskeisiin osa-alueisiin.

2. Uudistuksen tavoitteena kohtuuhintaisemmat lääkkeet ja lääkkeiden parempi saatavuus potilaille EU:ssa

Lääkkeet nopeasti ja tasapuolisesti potilaiden saataville

Uudistuksen yksi keskeinen tavoite on varmistaa turvallisten ja tehokkaiden lääkkeiden nopea ja tasapuolinen saatavuus kaikille potilaille koko EU:ssa⁸. Tämä ei tällä hetkellä aina päde etenkin innovatiivisiin lääkkeisiin, sillä potilaiden mahdollisuudet saada lääkkeitä vaihtelevat sen mukaan, missä jäsenvaltiossa he asuvat⁹.

Jotta lääkkeet tavoittaisivat potilaat, lääkkeille on saatava myyntilupa ja myyntiluvan haltijan on saatettava ne markkinoille. Useimmat innovatiiviset lääkkeet saavat EU:ssa keskitetyn myyntiluvan, jolloin ne voidaan saattaa markkinoille samanaikaisesti kaikissa jäsenvaltioissa. Myyntiluvan haltija tekee päätöksen saattaa lääke markkinoille tietyssä jäsenvaltiossa kuitenkin kaupallisin perustein, joihin vaikuttavat esimerkiksi markkinoiden koko,

³ Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivi 2001/83/EY, annettu 6 päivänä marraskuuta 2001, ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön säännöistä.

⁴ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 726/2004, annettu 31 päivänä maaliskuuta 2004, ihmisille ja eläimille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkeviraston perustamisesta.

⁵ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 1901/2006, annettu 12 päivänä joulukuuta 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.

⁶ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 141/2000, annettu 16 päivänä joulukuuta 1999, harvinaislääkkeistä.

⁷ Yleisen lääkelainsäädännön tarkistamisen vaikutustenarviointi, liite 2: Sidosryhmien kuuleminen.

⁸ Euroopan sosiaalisten oikeuksien pilarin periaatteen 16 mukaisesti (EUVL C 428, 13.12.2017, s. 10).

⁹ Yleisen lääkelainsäädännön tarkistamisen vaikutustenarviointi, 2 luku.

myynninedistämis- ja jakeluverkostot sekä kansalliset hinnoittelu- ja korvauskäytännöt. Tämän vuoksi kaikkia lääkkeitä ei usein saateta pienempien tai vähemmän varakkaiden jäsenvaltioiden markkinoille tai markkinoille pääsy näissä maissa viivästyy¹⁰.

Ehdotetulla uudistuksella pyritään nopeuttamaan potilaiden mahdollisuuksia saada innovatiivisia lääkkeitä EU:ssa muun muassa jouduttamalla myyntilupamenettelyjä (ks. 4 luku) tinkimättä lääkkeiden laadun, turvallisuuden ja tehon perusteellisesta arvioinnista. Lisäksi yrityksiä kannustetaan saattamaan valmisteitaan markkinoille kaikissa EU:n jäsenvaltioissa ja kehittämään valmisteita, joilla vastataan täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin (ks. lisätietoja sääntelysuojaan liittyvistä kannustimista ja sääntelyyn perustuvasta tuesta 4 luvussa).

Ehdotetulla uudistuksella helpotetaan myös rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien varhaisempaa markkinoille pääsyä. Jos uusiin lääkkeisiin ei sovelleta ehdotettuja ehdollisia lakisääteisiä suoja-aikoja (ks. 4 luku), niiden kilpailevat rinnakkaisvalmisteet ja biosimilaarit pääsevät markkinoille aiemmin kuin nykyisten sääntöjen puitteissa. Lisäksi rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien myyntilupamenettelyjä yksinkertaistetaan ja nopeutetaan.

Jo tämänhetkisten säännösten mukaisesti rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien kehittäjät voivat tehdä tutkimuksia tulevaa *myyntilupaa* varten, vaikka alkuperäisvalmiste kuuluisi edelleen patentin/lisäsuojatodistuksen¹¹ suojan piiriin (niin sanottu Bolar-poikkeus). Ehdotetulla uudistuksella näitä säännöksiä laajennetaan entisestään ja niiden täytäntöönpano yhdenmukaistetaan koko EU:ssa, jotta niitä voidaan soveltaa rinnakkaisvalmiste- ja biosimilaariteollisuuteen ennustettavammin. Käytännössä uudistuksen myötä on mahdollista tehdä ennakoivasti tutkimuksia, jotka liittyvät *hinnoitteluun ja korvauksiin* sekä patenttisuojattujen vaikuttavien aineiden valmistukseen tai ostamiseen, jotta myyntilupaa voi hakea kyseisenä ajanjaksona. Tämän ansiosta rinnakkaisvalmisteet ja biosimilaarit voidaan saattaa markkinoille heti, kun patentti tai lisäsuojatodistus raukeaa. Harvinaislääkkeiden osalta uudistuksella varmistetaan myös, että rinnakkaisvalmisteet ja biosimilaarit voivat päästä markkinoille heti kaupallisen yksinoikeuden¹² voimassaoloajan päättyttyä.

Lääkkeet kohtuuhintaisiksi paremmalla yhteistyöllä ja läpinäkyvyydellä

Kohtuuhintaisten lääkkeiden saatavuus on jatkuva haaste EU:n terveydenhuoltojärjestelmille ja potilaille, joiden on maksettava lääkkeitä. Korvattavien lääkkeiden korkeat hinnat voivat vaarantaa terveydenhuoltojärjestelmien taloudellisen kestävyys. Lisäksi vain osittain korvattavien lääkkeiden korkeat hinnat voivat vaikuttaa merkittävästi potilaiden taloudelliseen tilanteeseen ja aiheuttaa välittömiä kielteisiä terveysvaikutuksia potilaille, joilla ei ole varaa lääkkeeseen.

Jotta lääkkeitä saataisiin kohtuuhintaisempia, Euroopan lääkestrategiassa esiteltiin toimia, joilla tuetaan hinnoittelu-, korvaus- ja maksukäytäntöjä koskevaa jäsenvaltioiden yhteistyötä. Nämä aihealueet kuuluvat kansalliseen toimivaltaan. Komissio on muuttanut hinnoittelusta ja korvauksista vastaavien kansallisten toimivaltaisten viranomaisten sekä julkisen terveydenhuollon maksajien ryhmän (NCAPR) tilapäisestä foorumista jatkuvan vapaaehtoisen yhteistyön foorumiksi. Komissio on sitoutunut tehostamaan tätä yhteistyötä ja tukemaan kansallisten viranomaisten välistä tiedonvaihtoa esimerkiksi lääkkeiden julkisista hankinnoista kunnioittaen kuitenkin kaikilta osin jäsenvaltioiden toimivaltaa.

¹⁰ Yleisen lääkelainsäädännön tarkistamisen vaikutustenarviointi, 2 luku ja liite 14.

¹¹ Ks. lisätietoja teollis- ja tekijänoikeuksista, kuten patenteista ja lisäsuojatodistuksista, 4 luvussa.

¹² Ks. lisätietoja sääntelykannustimista, kuten kaupallisesta yksinoikeudesta, 4 luvussa.

Lääkkeiden yhteishankinnat voi olla yksi toimiva yhteistyön tapa, jonka avulla lääkkeitä saadaan kohtuuhintaisempia ja niiden saatavuutta ja toimitusvarmuutta saadaan parannettua. Esimerkkinä tästä ovat covid-19:n hoitokeinojen ja apinarokkorokotteiden yhteishankinnat¹³. Lääkkeiden yhteishankinnasta kiinnostuneet jäsenvaltiot voivat hyödyntää EU:n nykyisten sääntöjen mukaisia sääntelyvälineitä, kuten julkisia hankintoja koskevaa direktiiviä¹⁴, yhteishankintasopimusta¹⁵ ja parhaillaan tarkistettavana olevaa varainhoitoasetusta¹⁶. Komissio voi jäsenvaltioiden pyynnöstä antaa niille lisätukea, jotta lääkkeitä ja erityisesti harvinaisiin ja kroonisiin sairauksiin tarkoitettuja lääkkeitä saadaan potilaiden saataville EU:ssa.

Läkelainsäädännön ehdotettu uudistus sisältää useita toimenpiteitä, joilla voidaan vaikuttaa lääkkeiden hintoihin. Kun rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien varhaista markkinoille pääsyä helpotetaan, kilpailu lääkkeiden välillä kasvaa, niiden hinnat alenevat, potilaat saavat kohtuuhintaisempia lääkkeitä ja terveydenhuoltojärjestelmien kestävyys paranee. Lisäksi uudistuksessa tarjotaan kannustimia vertailevan kliinisen tiedon tuottamiseen, jolla tehostetaan lääkkeiden arviointia entisestään ja tuetaan hinnoittelua ja korvauksia koskevaa päätöksentekoa prosessin loppuvaiheessa. Kun myyntiluvista, terveydenhuollon menetelmien arvioinnista^{17,18} sekä hinnoittelusta ja korvauksista vastaavat viranomaiset tekevät tiiviimpää yhteistyötä, esimerkiksi näytön tuottamista lääkkeen elinkaaren aikana käsitellään johdonmukaisemmin (ks. luku 4).

Julkisen rahoituksen läpinäkyvyys voisi myös osaltaan alentaa lääkkeiden hintoja. Tällä hetkellä on epäselvää, missä määrin tietyn lääkkeen tutkimusta ja kehittämistä on edistetty julkisella rahoitustuella. Jos julkisen sektorin riskeistä verrattuna sijoittajien kantamiin riskeihin ei ilmoiteta läpinäkyvästi, teollisuudella sekä hinnoittelusta ja korvauksista vastaavilla viranomaisilla on epätasapuoiset neuvotteluedellytykset. Koska potilasjärjestöt ja muut sidosryhmät ovat esittäneet painokkaita vaatimuksia, ehdotetussa uudistuksessa otetaan käyttöön toimenpiteitä, joilla lisätään lääkkeiden kehittämiseen annetun julkisen rahoituksen läpinäkyvyyttä. Ehdotetun uudistuksen mukaan lääkeyhtiöiden on julkaistava tiedot kaikesta suorasta taloudellisesta tuesta, jota ne ovat saaneet viranomaisilta tai julkisrahoitteilta elimiltä lääkkeiden tutkimukseen ja kehittämiseen liittyviä toimia varten. Nämä tiedot tulevat julkisesti saataville yhtiön asiaa koskevalle verkkosivustolle ja tietokantaan, jossa luetellaan ihmisille tarkoitetut lääkkeet, joille on myönnetty myyntilupa unionissa. Läpinäkyvyyden odotetaan puolestaan hyödyttävän jäsenvaltioita niiden käydessä neuvotteluja lääkeyhtiöiden kanssa, mikä edistää viime kädessä lääkkeiden kohtuuhintaisuutta.

Tavoitteena kohtuuhintaisemmat lääkkeet

- Helpotetaan rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien varhaisempaa markkinoille pääsyä, jotta kilpailu kasvaa ja hinnat laskevat.

¹³ Komissio julkaisi tutkimuksen lääkkeiden julkisista hankinnoista ja antoi suosituksia (yhteisten) hankintojen optimoimiseksi. Tutkimus on saatavilla osoitteessa <https://data.europa.eu/doi/10.2925/044781>.

¹⁴ Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivi 2014/24/EU, annettu 26 päivänä helmikuuta 2014, julkisista hankinnoista ja direktiivin 2004/18/EY kumoamisesta.

¹⁵ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetusta (EU) 2022/2371, annettu 23 päivänä marraskuuta 2022, rajatylittävistä vakavista terveysuhkista ja päätöksen N:o 1082/2013/EU kumoamisesta.

¹⁶ Ehdotus Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi unionin yleiseen talousarvioon sovellettavista varainhoitosäännöistä (uudelleenlaadittu), COM/2022/223 final.

¹⁷ Terveydenhuollon menetelmien arvioinneissa tarkastellaan uusien lääkkeiden lisäarvoa olemassa oleviin lääkkeisiin verrattuna.

¹⁸ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetusta (EU) 2021/2282, annettu 15 päivänä joulukuuta 2021, terveysteknologian arvioinnista ja direktiivin 2011/24/EU muuttamisesta.

- Tarjotaan kannustimia vertailevan kliinisen tiedon tuottamiseen, jotta jäsenvaltiot voivat tehdä oikea-aikaisia ja tietoon perustuvia päätöksiä hinnoittelusta ja korvauksista.
- Lisätään läpinäkyvyyttä lääkkeiden kehittämiseen myönnetystä julkisesta rahoituksesta, jotta jäsenvaltiot voivat käydä tuloksellisempia hintaneuvotteluja lääkeyhtiöiden kanssa.
- Tuetaan muilla kuin lainsäädäntötoimilla hinnoittelusta ja korvauksista vastaavien kansallisten toimivaltaisten viranomaisten välistä yhteistyötä vaihtamalla kansallista hinnoittelua ja hankintaa koskevia tietoja ja parhaita käytäntöjä.

3. Lääkkeiden toimitusvarmuuden parantaminen ja lääkepulan torjuminen

Lääkepulasta on tullut kasvava kansanterveydellinen huolenaihe monissa EU-maissa¹⁹ mutta myös maailmanlaajuisesti. Lääkepula voi aiheuttaa potilaille vakavia terveydellisiä riskejä ja vaikuttaa potilaiden oikeuteen saada asianmukaista hoitoa EU:ssa. Lääkkeiden saatavuushäiriöiden lisääntyminen viime vuosina on tuotu esiin parlamentin päätöslauselmissa²⁰, neuvoston päätelmissä²¹ sekä jäsenvaltioiden ja asiaankuuluvien sidosryhmien viesteissä.

Lääkkeiden toimitusvarmuutta koskeva jäsennelty vuoropuhelu²² sekä viimeaikaiset tapahtumat, kuten covid-19-pandemia, Venäjän sota Ukrainassa ja korkea inflaatioaste, ovat herättäneet kysymyksiä lääkkeiden toimitusvarmuudesta EU:ssa. Kuten lääkepulaa koskevassa komission tutkimuksessa todetaan, saatavuushäiriöiden perimmäiset syyt ovat monitekijäisiä, ja koko lääkkeiden arvoketjussa, myös valmistusvaiheessa, on havaittu haasteita²³. Tarkemmin sanottuna lääkepula voi johtua toimitusketjujen monimutkaistumisesta ja erikoistumisesta, tiettyjen keskeisten ainesosien ja lääkkeiden hankinnan maantieteellisestä yksipuolisuudesta sekä sääntelyn monimutkaisuudesta. EU on enenevissä määrin riippuvainen²⁴ muutamista kolmansista maista ainesosien ja lääkkeiden osalta, mikä voi aiheuttaa haavoittuvuuksia toimitusketjussa.

Vaikka lääkkeiden maailmanlaajuisen toimitusketjujen haavoittuvuuksia koskevassa komission yksiköiden valmisteluasiakirjassa²⁵ esitetyt keskeiset osatekijät on sisällytetty ehdotettuun uudistukseen, toimitusketjuissa havaittuihin haasteisiin pyritään puuttumaan useilla muillakin toimenpiteillä. Kuten komission yksiköiden valmisteluasiakirjassa todetaan, teollisuusstrategiat^{26,27} ovat jo hyvä perusta lääkkeiden toimitusvarmuutta parantaville toimille. Niiden lisäksi tullaan edistämään vihreää innovointia ja digitaalista innovointia sekä

¹⁹ Ks. esimerkiksi Euroopan parlamentin ympäristön, kansanterveyden ja elintarvikkeiden turvallisuuden valiokunnan mietintö 22. heinäkuuta 2020 lääkepulasta – kuinka ratkaista kasvava ongelma, 2020/2071(INI).

²⁰ Esimerkiksi Euroopan parlamentin päätöslauselma 17. syyskuuta 2020 lääkepulasta – kuinka ratkaista kasvava ongelma (2020/2071(INI)), johdanto-osan G kappale.

²¹ Esimerkiksi neuvoston päätelmät lääkkeiden ja lääkinnällisten laitteiden saatavuudesta – kohti vahvempaa ja kestävämpää EU:ta (2021/C 269 I/02), johdanto-osan 5 kappale.

²² https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/pharmaceutical-strategy-europe/structured-dialogue-security-medicines-supply_en

²³ <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/1f8185d5-5325-11ec-91ac-01aa75ed71a1/language-en/format-PDF/source-245338952>

²⁴ Aasiassa tuotanto keskittyy erityisesti Kiinaan ja Intiaan, joista on kasvamassa merkittäviä tuottajia lääkealalla. Alueellisen keskittymisen lisäksi monilla ainesosilla on näissä maissa ainoastaan muutama valmistaja.

²⁵ https://health.ec.europa.eu/system/files/2022-10/mp_vulnerabilities_global-supply_swd_en.pdf

²⁶ Komission tiedonanto. Euroopan uusi teollisuusstrategia, COM(2020) 102 final.

²⁷ Komission tiedonanto. Vuoden 2020 uuden teollisuusstrategian päivittäminen: vahvemmat sisämarkkinat Euroopan elpymistä varten, COM(2021) 350 final.

tehostamaan keskeisten toimijoiden välistä yhteistyötä sekä EU:ssa että maailmanlaajuisesti. Komissio tukee myös jäsenvaltioiden pyrkimyksiä yhdistää julkiset resurssinsa terveysalalla toteutettavilla Euroopan yhteistä etua koskevilla tärkeillä hankkeilla (IPCEI), jotta voidaan edistää sellaisten innovatiivisten, taloudellisesti ja ympäristön kannalta kestävien menetelmien kehittämistä, jotka ovat alan uusinta kehitystasoa edistyneempiä ja joiden avulla voidaan puuttua markkinoiden toimintapuutteisiin.

Jotta voitiin puuttua joihinkin covid-19-pandemian aikana esiin nousseisiin heikkouksiin, Euroopan lääkeviraston (EMA) toimeksiantoa laajennettiin²⁸ Euroopan terveysunionin rakentamisen yhteydessä. Näin lääkkeiden tiettyjä saatavuushäiriöitä voidaan koordinoita ja hallinnoida kriisien aikana. Lisäksi perustettiin terveyshätätilanteiden valmiusviranomaisen (HERA)²⁹, jonka tehtävänä on varmistaa kansanterveysuhkia varten tarvittavien lääketieteellisten vastatoimien saatavuus ja vastata markkinahaasteisiin esimerkiksi toimitusketjun seurannan, varastoinnin³⁰ tai hankintojen avulla. Ehdotetulla kriittisiä raaka-aineita koskevalla asetuksella³¹ taas taataan tiettyjen lääketuotannon kannalta olennaisten materiaalien saatavuus toimitusketjuja varten.

Vaikka näissä puitteissa on otettu käyttöön tehokkaita menettelyjä, tarvitaan tiiviimpää EU:n laajuista koordinoitua ja asianmukaisia toimenpiteitä, jotta voidaan turvata lääkkeiden toimitukset ja saatavuus EU:n kansalaisille paitsi yleisen kriisin aikana myös normaaliaikoina.

Uudistuksessa ehdotetaan toimenpiteitä, joilla ratkotaan sellaisia tarjontaan ja saatavuuteen liittyviä haasteita, joihin EMAn laajennettu toimeksianto ja HERAn rooli ei ulotu, koska ne rajoittuvat kriisivalmiuteen ja kriisinhallintaan. Uudistuksessa otetaan huomioon systemiset puutteet ja parannetaan kriittisten lääkkeiden toimitusvarmuutta kaikissa olosuhteissa ottamalla käyttöön tiukempia toimitukseen sekä aikaisempaan saatavuushäiriöistä ilmoittamiseen ja markkinoilta vetämiseen liittyviä velvoitteita sekä vahvistamalla EMAn roolia lääkepulan torjuntatoimien koordinoinnissa. Lisäksi ehdotetussa uudistuksessa esitetään EU:n laajuista luetteloa, jossa yksilöidään EU:n terveydenhuoltojärjestelmien kannalta kriittisimpinä pidetyt lääkkeet. Sen avulla on helpompi analysoida kyseisten lääkkeiden toimitusketjun haavoittuvuuksia ja suositella toimenpiteitä, joita myyntiluvan haltijoiden, jäsenvaltioiden tai muiden toimijoiden on toteutettava toimitusvarmuuden parantamiseksi (esim. valmiusvarastojen ylläpito). Tässä yhteydessä jäsenvaltioiden on myös ilmoitettava EMAlle toimista, joita ne ovat toteuttaneet kyseisen lääkkeen toimitusvarmuuden parantamiseksi.

Näin EU voi tehokkaasti ehkäistä kriittisten lääkkeiden toimitukseen liittyviä haasteita ja varmistaa, että niitä voidaan toimittaa jatkuvasti EU:n kansalaisille.

Lääkepulaan ja toimitusketjuun liittyviin haasteisiin vastaaminen kaikissa olosuhteissa

- Ehdotetussa uudistuksessa esitetään, että kansallisten toimivaltaisten viranomaisten ja EMAn on seurattava jatkuvasti, onko lääkkeitä pulaa. Myyntiluvan haltijoiden

²⁸ https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?toc=OJ:L:2022:020:TOC&uri=uriserv:OJ.L_.2022.020.01.0001.01.FIN

²⁹ https://health.ec.europa.eu/system/files/2021-09/hera_2021_decision_en_0.pdf

³⁰ HERAlla on 1,2 miljardin euron määrärahat lääketieteellisten vastatoimien varastointiin rescEU:n puitteissa. Osa tästä budjetista käytetään antibioottien varastointiin, mutta samalla on huolehdittava siitä, että se ei pahenna lääkkeiden saatavuushäiriöitä. Varastoituja antibiootteja voitaisiin tarvittaessa ottaa käyttöön jäsenvaltioissa unionin pelastuspalvelumekanismin kautta.

³¹ Ehdotus Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi puitteiden vahvistamisesta kriittisten raaka-aineiden varman ja kestävä tarjonnan varmistamiseksi sekä asetusten muuttamisesta, COM/2023/160 final

velvoitteita tiukennetaan. Niiden on esimerkiksi raportoitava lääkkeiden saatavuushäiriöistä aikaisemmin ja yhdenmukaistetulla tavalla ja niillä on oltava lääkepulan ehkäisemistä koskeva suunnitelma.

- EMAn koordinoitavaksi korostetaan ja sille annetaan laajemmat valtuudet seurata ja hallinnoida lääkkeiden kriittisiä saatavuushäiriöitä EU:n tasolla kaikissa olosuhteissa yhdessä lääkepulan ja lääkkeiden turvallisuutta käsittelevän toimeenpanevan ohjausryhmän kanssa. Tässä yhteydessä jäsenvaltioiden on myös ilmoitettava EMAlle kaikista suunnitelluista tai toteutetuista kansallisista toimista, joilla tietyn lääkkeen saatavuushäiriöitä pyritään lieventämään tai ratkaisemaan. Lääkepulan koskeva läpinäkyvyys varmistetaan julkaisemalla tietoa saatavuushäiriöistä kansallisella ja EU:n tasolla.
- Komissio laatii EU:n laajuisen luettelon kriittisistä lääkkeistä, ja näiden lääkkeiden toimitusketjun haavoittuvuudet arvioidaan.
- Jos kriittisten lääkkeiden saatavuushäiriöitä esiintyy, lääkkeiden myyntiluvan haltijoiden on pyrittävä korjaamaan nämä häiriöt suositusten mukaisesti ja raportoitava toteutettujen toimenpiteiden tuloksista. Suositukset voivat koskea esimerkiksi tuotantokapasiteetin lisäämistä tai uudelleenorganisointia tai jakelun mukauttamista tarjonnan parantamiseksi.

4. Uutta pontta innovointiin ja EU:n kilpailukykyyn

Innovointia, lääkkeiden saatavuutta ja täyttämättömien lääketieteellisten tarpeiden täyttämistä koskevat tehokkaat kannustimet

EU:n lääkemarkkinat ovat maailman toiseksi suurimmat Yhdysvaltojen jälkeen, ja EU:lla on elinvoimainen ja kilpailukykyinen lääketeollisuus. Se on yksi Euroopan parhaiten suoriutuvista huipputeknologian aloista. Läketeollisuus työllistää suoraan 840 000 henkilöä ja kolme kertaa tämän määrän välillisesti tuotantoketjun alku- ja loppupäässä. Eurooppa (EU, Yhdistynyt kuningaskunta ja Sveitsi) on toiseksi suurin lääkealan t&k-investoija Yhdysvaltojen jälkeen. Eurooppa investoi vuonna 2020 alan t&k-toimintaan 39,7 miljardia euroa ja Yhdysvallat 63,5 miljardia euroa³². EU on uusimpiin teknologioihin perustuvien lääkkeiden valmistuksen selkeä johtaja maailmanlaajuisesti. Tästä esimerkkinä oli EU:n johtava rooli covid-19-rokotteiden toimittamisessa maailmalle. Vuonna 2021 EU:n lääkkeiden viennin arvo oli 235 miljardia euroa, mikä on 136 miljardia euroa enemmän kuin sen tuonnin arvo³³. EU käyttää BKT:staan lääkkeisiin noin 1,5 prosenttia, mikä oli 230 miljardia euroa vuonna 2021. Tästä summasta yli 80 prosenttia käytetään innovatiivisiin valmisteisiin³⁴. EU:n lääkemarkkinoiden osuus maailmanmarkkinoista on 17 prosenttia, joten ne ovat toiseksi houkuttelevimmat markkinat teollisuudelle ja erityisesti innovoijille.

Läkelainsäädännön uudistuksella pyritään vahvistamaan EU:n lääketeollisuuden asemaa entisestään sekä EU:ssa että maailmanlaajuisesti. Sääntelykehyksellä tuetaan jatkossakin innovointia ja varmistetaan, että potilaat EU:ssa saavat huipputason terveydenhuoltoa ja lääkkeitä. Kuten covid-19-pandemia on osoittanut, innovointia tarvitaan uusien ja parempien hoitomuotojen sekä uusien lääkkeiden ja olemassa olevien lääkkeiden uusien käyttötarkoitusten kehittämiseksi.

Läketutkimus on monimutkainen prosessi, josta aiheutuu kehittäjille merkittäviä kustannuksia ja riskejä (jotka liittyvät esimerkiksi prekliinisten ja kliinisten tutkimusten

³² The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data. EFPIA, 2022.

³³ Trade surplus in medicinal products records high. Eurostat, 2022.

³⁴ IQVIA MIDAS -tietokanta.

kustannuksiin ja tieteelliseen monimutkaisuuteen). Lisäksi lääkkeiden tutkimuksen tekijöistä ja kehittäjistä kilpaillaan kansainvälisesti tarjoamalla toiminnalle tulevaisuuden vaatimukset huomioon ottavat ja vakaat sääntelypuitteet sekä suotuisat olosuhteet. Esimerkiksi pääoman saatavuus, saatavilla oleva infrastruktuuri sekä ammattitaitoinen ja pätevä työvoima ovat keskeisiä tekijöitä lääkkeiden kehittämisessä ja innovoinnin edistämisessä. Lääkelainsäädännön tarkistuksessa otetaan huomioon EU:n kilpailukyky sekä sääntelyn että teollisuuspolitiikan näkökulmasta. Innovoinnin edistäminen, lääkkeiden saatavuus ja lääkkeiden kohtuuhintaisuus asetetaan sopivaan tasapainoon. Uusien lääkkeiden kehittäminen ja terveydenhuoltojärjestelmiemme tarvitsemien lääkkeiden saatavuus edellyttävät vahvaa lääketieteellisuutta. Se on keskeinen voimavara EU:n talouden kannalta.

EU:ssa on vahva teollis- ja tekijänoikeuksien järjestelmä (patentit ja lisäsuojatodistukset³⁵), jota lääkelainsäädännössä säädetty sääntelysuojaan liittyvät kannustimet täydentävät. Sekä teollis- ja tekijänoikeuksilla että sääntelysuojaan liittyvillä kannustimilla vaalitaan ja edistetään innovointia sekä kompensoidaan innovatiivisten lääkkeiden kehittäjille aiheutuvia riskejä ja kustannuksia. Järjestelmä tarjoaa myös selkeät puitteet rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien markkinoille pääsyyn sen jälkeen, kun teollis- ja tekijänoikeuksien voimassaolo ja lakisääteiset suoja-ajat ovat päättyneet.

Lääkkeitä voidaan suojata patenteilla ja lisäsuojatodistuksilla kansallisten, eurooppalaisten ja kansainvälisten oikeudellisten kehysten, kuten lisäsuojatodistuksia koskevan EU:n asetuksen³⁶, nojalla. Niiden suoja-aika voi kestää yli 20 vuotta ensimmäisen patentin hakemisesta, joka tehdään yleensä lääkkeen kehittämisen alkuvaiheessa. Kun lääkkeelle on myönnetty myyntilupa, EU:n lääkelainsäädännössä myönnetään innovatiivisille lääkkeille lisäksi 10 vuoden sääntelysuoja, joka koostuu kahdeksan vuoden dokumentaatio suojusta³⁷ ja kahden vuoden markkinointisuojusta³⁸. Tätä suoja-aikaa voidaan pidentää 11 vuoteen, jos lääkkeelle hyväksytään uusi käyttöaihe alkuperäisen myyntiluvan myöntämisen jälkeen. Jos kyseessä on harvinaissairauksiin tarkoitettu lääke (harvinaislääke), innovatiivisille lääkkeille myönnetään kymmenen vuoden kaupallinen yksinoikeus³⁹. Jos lääkkeen osalta on toteutettu EMAn hyväksymä lastenlääkettä koskeva tutkimusohjelma, sen lisäsuojatodistukseen myönnetään kuuden kuukauden jatkoaika edellä esitettyjen suoja-aikojen lisäksi.

Teollis- ja tekijänoikeuksien sekä sääntelyyn perustuvan suojan ansiosta EU:ssa on vahva innovointijärjestelmä, joka on erittäin kilpailukykyinen verrattuna muihin maailman maihin.

Lääkkeiden kehittämiseen tällä hetkellä tehtävät investoinnit eivät kuitenkaan välttämättä aina kohdistu suurimpiin täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin. Tämä pätee erityisesti sairauksiin, joihin liittyy tieteellisiä haasteita (esim. sairauden heikko tuntemus, vähäinen perustutkimus) tai joiden kaupallinen kiinnostus on vähäistä (esim. harvinaissairaudet). Tämän vuoksi tiettyjen syöpien tai hermoston rappeutumissairauksien kaltaisiin vakaviin

³⁵ Lisäsuojatodistus on teollis- ja tekijänoikeus, jolla laajennetaan patenttioikeutta.

³⁶ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus (EY) N:o 469/2009, annettu 6 päivänä toukokuuta 2009, lääkkeiden lisäsuojatodistuksesta.

³⁷ Dokumentaatio suojusta tarkoitetaan lääkkeen alkuperäisen myyntiluvan myöntämisen jälkeistä ajanjaksoa, jonka aikana yritykset, jotka haluavat kehittää lääkkeelle rinnakkaisvalmisteita tai biosimilaareja, eivät voi viitata alkuperäiseen asiakirja-aineistoon sisältyvien prekliinisten ja kliinisten tutkimusten tuloksiin.

³⁸ Markkinointisuojusta tarkoitetaan ajanjaksoa, jonka aikana rinnakkaisvalmisteita ja biosimilaareja koskevia myyntilupahakemuksia voi jo jättää ja arvioida ja kyseisille lääkkeille voi myöntää myyntilupia. Rinnakkaisvalmiste tai biosimilaari voidaan kuitenkin saattaa markkinoille vasta tämän suoja-ajan päätyttyä.

³⁹ Kaupallisella yksinoikeudella tarkoitetaan myyntiluvan antamisen jälkeistä ajanjaksoa, jonka aikana markkinoille ei saa saattaa vastaavanlaisia lääkkeitä samaa käyttöaihetta varten.

sairauksiin ei ole edelleenkään tyydyttävää hoitomuotoa. Lisäksi tunnetaan yli 6 000⁴⁰ harvinaissairautta, joista 95 prosenttiin ei ole tällä hetkellä hoitokeinoa⁴¹. Lapsille tarkoitettujen lääkkeiden osalta edistystä on tapahtunut hyvin sellaisilla lääketieteen aloilla, joilla lasten ja aikuisten tarpeet ovat samanlaisia, sillä lääkkeitä kehitetään yhä pääasiassa aikuisten tarpeisiin. Lääkkeitä on kuitenkin kehitetty vain rajallisesti sairauksiin, jotka ovat biologisesti erilaisia aikuisilla ja lapsilla, kuten lasten syövä, mielenterveyteen tai käyttäytymiseen liittyvät häiriöt tai vastasyntyneiden sairaudet.

Lisäksi nekään innovatiiviset lääkkeet, joita on kehitetty ja hyväksytty, eivät tavoita potilaita kaikkialla EU:ssa nopeasti ja tasapuolisesti.

Ehdotetulla lääkelainsäädännön uudistuksella siirrytään yleispätevästä sääntelysuojasta kohdennetumpaan lähestymistapaan, jolla edistetään potilaiden mahdollisuuksia saada kohtuuhintaisia lääkkeitä kaikissa EU:n jäsenvaltioissa ja vastataan täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin. Lisäksi täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin liittyvää innovointia edistetään EMAn tarjoamalla sääntelyyn perustuvalla tuella (ks. vahvistettu PRIME-ohjelma seuraavassa jaksossa).

Ehdotetussa uudistuksessa innovatiivisille lääkkeille myönnetään lakisääteinen suoja-aika, joka on hieman nykyistä lyhyempi mutta jota voidaan jatkaa, jos valmiste täyttää tietyt kansanterveydelliset tavoitteet (ks. jäljempänä oleva laatikko). Kun otetaan huomioon ehdolliset lisäsuoja-ajat, suoja-ajan enimmäiskesto voi olla jopa pidempi kuin nykyään. Ehdotetun uudistuksen mukaisesti innovatiivisten lääkkeiden lakisääteinen suoja-aika voi kestää enimmillään 12 vuotta (jos lääkkeelle hyväksytään uusi käyttöaihe alkuperäisen myyntiluvan myöntämisen jälkeen), kun tällä hetkellä enimmäiskesto on 11 vuotta. Jos kyse on harvinaislääkkeestä, joka vastaa merkittävään täyttämättömyyteen lääketieteelliseen tarpeeseen, lakisääteinen suoja-aika voi kestää enimmillään 13 vuotta, kun tällä hetkellä sen enimmäiskesto on 10 vuotta.

Näin ollen EU:n sääntely-ympäristö on edelleen yksi houkuttelevimmista koko maailmassa. Muissa maissa suoja-ajat kestävät keskimäärin kuudesta (Israel, Kiina) kahdeksaan vuotta (Japani, Kanada).

Kohdennetaan innovointikannustimia potilaiden tavoittamiseen ja täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin

- Ehdotetussa uudistuksessa innovatiivisten lääkkeiden sääntelyyn perustuva vähimmäissuoja-aika on kahdeksan vuotta: kuusi vuotta dokumentaationsuojaa ja kaksi vuotta markkinointisuojaa. Yrityksille voidaan myöntää pidempiä dokumentaationsuojajaksoja, jos ne saattavat lääkkeen markkinoille kaikissa jäsenvaltioissa (+ 2 vuotta) tai kehittävät lääkkeitä täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin (+ 6 kuukautta) tai suorittavat vertailevia kliinisiä tutkimuksia (+ 6 kuukautta). Uuden käyttöaiheen perusteella voidaan myöntää yksi lisävuosi dokumentaationsuojaa.
- Edellä mainittuja sääntelysuojaa koskevia uusia sääntöjä sovelletaan myös lastenlääkkeisiin. Lisäksi jos lääkkeen osalta on toteutettu EMAn hyväksymä lastenlääkettä koskeva tutkimusohjelma, sen lisäsuojatodistukseen myönnetään edelleen kuuden kuukauden jatkoaika. Lastenlääkkeitä koskeviin tutkimusohjelmiin sovellettaviin

⁴⁰ https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=EN

⁴¹ Yhteinen arviointi lastenlääkkeistä 12 päivänä joulukuuta 2006 annetusta Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksesta (EY) N:o 1901/2006 ja harvinaislääkkeistä 16 päivänä joulukuuta 1999 annetusta Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksesta (EY) N:o 141/2000, SWD(2020) 163.

sääntöihin tehdään mukautuksia, jotta niiden avulla voidaan vauhdittaa ainoastaan lapsia koskeviin sairauksiin tarkoitettuja lääkkeitä koskevaa tutkimusta ja kehitystä.

- Harvinaislääkkeisiin sovelletaan erityissäännöksiä, joilla edistetään harvinaissairauksiin liittyvää tutkimusta ja kehitystyötä. Harvinaislääkkeiden kaupallisen yksinoikeuden vakiokoesto on yhdeksän vuotta. Yrityksille voidaan myöntää pidempiä kaupallisen yksinoikeuden suoja-aikoja, jos ne vastaavat merkittävään täyttämättömään lääketieteelliseen tarpeeseen (+ 1 vuosi), saattavat lääkkeen markkinoille kaikissa jäsenvaltioissa (+ 1 vuosi) tai kehittävät uusia käyttöaiheita jo myyntiluvan saaneelle harvinaislääkkeelle (enintään 2 lisävuotta).
- Kaikissa jäsenvaltioissa markkinoille saattamista koskeva ylimääräinen sääntelysuoja myönnetään, jos lääkettä toimitetaan jatkuvasti ja riittävässä määrin kaikkiin jäsenvaltioihin kahden vuoden kuluessa myyntiluvan myöntämisestä tai kolmen vuoden kuluessa sellaisten yritysten osalta, joilla on vain vähäistä kokemusta EU:n järjestelmästä, kuten pienet ja keskisuuret yritykset (pk-yritykset). Jos jäsenvaltio pyytää poikkeuslupaa (esimerkiksi siksi, että se haluaa saattaa lääkkeen markkinoille vasta myöhemmin), lisäsuojaa myönnetään silti.
- Vakiintuneiden lääkkeiden uusille terapeuttisille käyttötarkoituksille (käyttötarkoitusten muuttaminen) voidaan myöntää neljän vuoden dokumentaatio suoja-aika. Lisäksi voittoa tavoittelemattomat toimijat voivat toimittaa EMAlle näyttöä jo myyntiluvan saaneiden lääkkeiden uusista terapeuttisista käyttöaiheista, joilla vastataan täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin.

On tärkeää huomata, että ehdotettu lääkelainsäädännön uudistus ei vaikuta teollis- ja tekijänoikeuksien (patentin ja lisäsuojatodistuksen) antamaan suojaan. Tältä osin komissio esittää samanaikaisesti lääkkeiden lisäsuojatodistusta koskevan asetuksen uudistamista. Uudistuksella luodaan keskitetty tutkintamenettely kansallisten lisäsuojatodistusten myöntämistä varten ja otetaan käyttöön yhtenäinen lääkkeiden lisäsuojatodistus muuttamatta sovellettavien sääntöjen sisältöä (esim. kelpoisuusehdot, kesto jne.). Ehdotettu uudistus vähentää huomattavasti kustannuksia ja hallinnollista taakkaa, joita tällä hetkellä täysin kansallisella tasolla hallinnoidusta lisäsuojatodistusjärjestelmästä aiheutuu lisäsuojatodistusten hakijoille. Lisäsuojatodistusjärjestelmän oikeusvarmuuden ja läpinäkyvyyden parantaminen hyödyttää myös rinnakkaisvalmisteiden valmistajia. Mikä tärkeintä, aloitteella varmistetaan myös, että innovatiivinen lääketieteellisyys voi hyötyä yhtenäisestä patentista sitä vastaavan yhtenäisen lisäsuojatodistuksen avulla.

Yhteenvetona voidaan todeta, että patenttien ja lisäsuojatodistusten sekä sääntelyyn perustuvan suojan yhdistelmällä voidaan edelleen turvata EU:n kansainvälinen kilpailuetu lääkkeiden kehittämisessä, ohjata tutkimusta ja kehitystyötä potilaiden suurimpiin tarpeisiin sekä varmistaa lääkkeiden nopeampi ja tasapuolisempi saatavuus potilaille kaikkialla EU:ssa.

Täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin liittyvästä innovoinnista palkitaan lisäämällä sääntelyyn perustuvaa tukea lupaavien lääkkeiden kehittämiseen

EMA tarjoaa lääkkeiden kehittäjille tieteellistä tukea niin, että ne voivat mahdollisimman tarkoituksenmukaisesti tuottaa vahvaa näyttöä lääkkeen hyödyistä ja riskeistä (esim. kliinisten tutkimusten suunnittelua koskevat tieteelliset ohjeet). Tavoitteena on tukea laadukkaiden, tehokkaiden ja turvallisten lääkkeiden nopeaa ja huolellista kehittämistä potilaita varten.

EMAn ensisijaislääkkeitä koskevasta ohjelmasta (PRIME)⁴² saatujen kokemusten pohjalta ehdotetulla uudistuksella lisätään EMAn tieteellistä tukea erityisesti sellaisten lupaavien lääkkeiden osalta, joita kehitetään täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita varten. Tällaisille ensisijaislääkkeille annetaan tehostettua tieteellistä ja sääntelyyn perustuvaa tukea ja niiden arviointi voidaan tehdä nopeutetusti. Vahvistetulla PRIME-ohjelmalla vauhditetaan täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin liittyvää innovointia, annetaan lääkeyhtiöille mahdollisuus nopeuttaa kehittämisprosessia ja edistetään lääkkeen varhaisempaa saatavuutta potilaille.

Lisäksi uudistuksella helpotetaan patenttisuojan ulkopuolella olevien lääkkeiden käyttötarkoituksen muuttamista uusiin terapeuttisiin käyttötarkoituksiin pk-yrityksille ja voittoa tavoittelemattomille kehittäjille tarkoitetun erityisen EMAn tukijärjestelmän avulla.

Uudistuksella myös nopeutetaan lupaavien lääkkeiden arviointia tarjoamalla mahdollisuus niin sanottuun jatkuvaan arviointiin, jossa tietoja tarkastellaan vaiheittain sitä mukaa, kun ne tulevat saataville. Tämä menettely on osoittautunut tehokkaaksi covid-19-pandemian aikana, ja uudistuksessa sitä esitetään sovellettavaksi myös lupaaviin lääkkeisiin, joiden avulla hoitoa voidaan edistää erityisen paljon aloilla, joilla on täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita. EU:n tasolla otetaan käyttöön väliaikainen kiireellinen myyntilupa sellaisten kansanterveysuhkien varalta, joissa turvallisten ja tehokkaiden lääkkeiden kehittäminen ja hyväksyminen mahdollisimman nopeasti on erittäin tärkeää.

Investointeja ja innovointia Eurooppaan myös jatkossa kehittämällä sääntelyjärjestelmää

EU:lla on oltava tehokas ja ketterä sääntelyjärjestelmä, jolla tuetaan lääkkeiden kehittämistä, niiden ripeää hyväksymistä ja niiden saattamista potilaiden saataville. Tällainen sääntelyjärjestelmä on myös suotuisa lääketieteellisen innovointikapasiteetin ja kilpailukyvyn edistämisen kannalta.

Tällä hetkellä EU:n myyntilupaa varten tarvittava lääkkeiden tieteellinen arviointi usein keskeytyy ("clock-stops"), kun yritykset laativat vastauksia EMAn pyyntöihin, jotka koskevat alkuperäisestä hakemuksesta puuttuvia tietoja. Ehdotuksessa lisätään tieteellistä tukea, jota EMA voi antaa lääkkeiden kehittäjille ennen myyntilupahakemusten jättämistä. Tämä parantaa alkuperäisten hakemusten laatua, lyhentää keskeytysten aiheuttamia viivästyksiä ja nopeuttaa myyntilupaa varten tarvittavaa arviointia. Puutteelliset hakemukset mitätöidään arvioinnin aikana, jos hakijat eivät toimita puuttuvia tietoja asetetussa määräajassa. Näin vapautetaan resursseja ja optimoidaan arviointijärjestelmää. Lisäksi uudistuksessa ehdotetaan, että tieteellisen arvioinnin kestoa lyhennetään nykyisestä 210 päivästä 180 päivään, ja komission määräaikaa hyväksyä lääke 67 päivästä 46 päivään. Jos lääkkeestä on huomattavaa etua kansanterveyden kannalta, arviointi saa kestää 150 päivää. Näiden lyhennettyjen määräaikojen ja edellä mainittujen tukitoimien avulla varmistetaan, että lääkkeet tavoittavat potilaat nopeammin.

Lisäksi ehdotettu uudistus kohentaa EMAn rakennetta ja hallintoa yksinkertaistamalla sen tieteellisten komiteoiden rakennetta ja lisäämällä sen asiantuntemukseen perustuvia valmiuksia. Näin vältetään päällekkäistä työtä, lisätään tehokkuutta ja lyhennetään lääkkeiden arviointiaikoja tinkimättä korkeista standardeista ja tieteellisestä asiantuntemuksesta. Uudistukseen sisältyy myös useita toimenpiteitä, joilla yksinkertaistetaan sääntelymenettelyjä

⁴² <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

ja edistetään digitalisaatiota, mikä vähentää lääkkeiden kehittäjien ja toimivaltaisten viranomaisten hallinnollista taakkaa (ks. jäljempänä oleva laatikko).

Ehdotetusta uudistuksesta hyötyvät erityisesti pienet ja keskisuuret yritykset (pk-yritykset) ja lääkkeiden kehittämiseen osallistuvat voittoa tavoittelemattomat toimijat, koska se vähentää niille sääntelystä aiheutuvaa taakkaa. EMA tarjoaa pk-yrityksille ja voittoa tavoittelemattomille toimijoille myös kohdennettua tieteellistä ja sääntelyyn perustuvaa tukea esimerkiksi maksujen alennus- tai vapautusjärjestelmien muodossa.

Sääntelyyn perustuva tuki ja sääntelytaakan keventäminen yksinkertaisemmilla menettelyillä

- Vahvistetaan EMAn varhaisessa vaiheessa tarjoamaa sääntelyyn perustuvaa tukea erityisesti sellaisten lupaavien lääkkeiden osalta, joita kehitetään täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita varten.
- Annetaan EMAlle mahdollisuus arvioida lääkettä koskevia tietoja sitä mukaa, kun ne tulevat saataville, jos kyseessä on lupaava lääke, joiden avulla hoitoa voidaan edistää erityisen paljon aloilla, joilla on täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita.
- Otetaan käyttöön EU:n tasolla väliaikainen kiireellinen myyntilupa sellaisten kansanterveysuhkien varalta, joissa turvallisten ja tehokkaiden lääkkeiden kehittäminen ja hyväksyminen mahdollisimman nopeasti on erittäin tärkeää.
- Optimoidaan EMAn rakennetta (esim. vähennetään tieteellisten komiteoiden määrää) ja panostetaan asiantuntijuuteen ja valmiuksien kehittämiseen toimivaltaisten viranomaisten verkostossa.
- Yksinkertaistetaan sääntelyyn pohjautuvia menettelyjä (esim. poistetaan suurelta osin lääkkeiden myyntiluvan uudistamista koskeva vaatimus ja yksinkertaistetaan rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien hyväksymisedellytyksiä).
- Lyhennetään EMAn tieteellisen arvioinnin kestoa nykyisestä 210 päivästä (käytännössä keskimäärin 400 päivää) 180 päivään, ja komission määräaikaa hyväksyä lääke 67 päivästä 46 päivään. Jos kyseessä on valmiste, joka vastaa täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin ja joka on erityisen hyödyllinen kansanterveyden kannalta, menettelyä voidaan nopeuttaa ja arviointia lyhentää 150 päivään.
- Digitalisointi (esim. hakemusten sähköinen toimittaminen, sähköiset valmistetiedot).

EMAn uudistetun rakenteen sekä EMAn tarjoaman tehostetun tieteellisen tuen, yksinkertaistettujen menettelyjen ja digitalisoinnin myötä lääkkeiden arviointiin ja hyväksyntään menee vähemmän aikaa. Tämä taas parantaa EU:n sääntelyjärjestelmän kilpailukykyä sekä potilaiden mahdollisuuksia saada innovatiivisia lääkkeitä, rinnakkaisvalmisteita ja biosimilaareja nopeasti.

Lisäksi varmistetaan useilla tulevaisuuden vaatimukset huomioon ottavilla toimenpiteillä, että sääntelyjärjestelmä pysyy tieteen ja teknologian kehityksen tahdissa, ja luodaan suotuisa sääntely-ympäristö lupaaville uusille hoitomuodoille ja läpimurtoinnovaatioille innovaatioperiaatteen⁴³ mukaisesti. Tähän sisältyy myös innovatiivisten menetelmien edistäminen, mukaan lukien eläinkokeiden vähentämiseen tähtäävät menetelmät. Uudistus mahdollistaa ensimmäistä kertaa lääkealan sääntelyn testiympäristöjen käytön. Testiympäristössä innovatiivisia menetelmiä ja uusia lääkkeitä voidaan kokeilla sääntelyviranomaisten valvonnassa. Sääntelyn testiympäristöistä voidaan saada lisätieto

⁴³ https://research-and-innovation.ec.europa.eu/law-and-regulations/ensuring-eu-legislation-supports-innovation_en

paitsi innovoinnista myös sen perustana olevista säännöistä ja määräyksistä sekä siitä, miten niitä sovelletaan parhaiten tuleviin terveydenhuollon menetelmiin. Näistä testiympäristöistä saatujen kokemusten pohjalta voidaan myöhemmin kehittää mukautettuja sääntelykehyksiä – myös tämä on uudistukseen sisältyvä uusi osatekijä. Näin voidaan luoda räätälöityjä horisontaalisia sääntöjä, jotka ovat vaadittujen sääntelystandardien mukaisia mutta soveltuvat täysin myös innovatiivisiin elementteihin.

Terveysdatan toissijaisen käytön avulla voidaan tehostaa lääkkeiden kehittämisen tehokkuutta ja tuloksellisuutta, vähentää kustannuksia ja parantaa potilastuloksia. Terveysdataa voidaan käyttää esimerkiksi täyttämättömien lääketieteellisten tarpeiden tunnistamiseen, kliinisten lääketutkimusten suunnittelun optimointiin ja tukemaan näytön tuottamista myyntilupaa varten. Lisäksi reaali maailman dataa voidaan käyttää myyntiluvan myöntämisen jälkeen lääkkeiden turvallisuuden ja tehon seurantaan sekä jatkuvan oppimisen ja terveydenhuollon kehittämisen tukemiseen. Lääkelainsäädännön uudistuksella ja eurooppalaisella terveystiedon avaruudella helpotetaan terveysdatan saatavuutta ja käyttöä tinkimättä potilaiden yksityisyydensuojasta. Terveysdatan toissijaisen käytön mahdollistaminen sääntelytarkoituksissa tarjoaa ainutlaatuisen tilaisuuden innovoinnille ja parantaa EU:n lääketieteellisuuden kilpailukykyä.

Tulevaisuuden vaatimukset huomioon ottava sääntelykehys

- Helpotetaan reaali maailman datan ja terveysdatan käyttöä sääntelytarkoituksiin tinkimättä potilaiden yksityisyydensuojasta.
- Selkeytetään lääkkeitä ja muita terveydenhuollon menetelmiä (esim. lääkinnälliset laitteet, ihmisestä peräisin olevat aineet) koskevien EU:n lainsäädäntökehysten välistä suhdetta.
- Otetaan käyttöön sääntelyn testiympäristöjä uusia menetelmiä koskevien sääntelytapojen testaamiseksi ennen virallista sääntelyä.
- Mukautetaan sääntelykehyksiä sisällyttämällä niihin erityisiä vaatimuksia tiettyjen uusien lääkkeiden ominaispiirteitä varten.
- Kannustetaan käyttämään uusia menettelytapoja, joilla voidaan vähentää eläinkokeita.

Ehdotetulla uudistuksella edistetään lääkkeiden elinkaaren eri osa-alueisiin osallistuvien EU:n eri viranomaisten välistä yhteistyötä. EMA esimerkiksi koordinoi mekanisme, jolla helpotetaan yhteistä etua koskevia tieteellisiä ja teknisiä kysymyksiä koskevien tietojen ja tietämyksen vaihtoa myyntiluvista, kliinisistä tutkimuksista, terveydenhuollon menetelmien arvioinnista sekä lääkkeiden hinnoittelusta ja korvauksista vastaavien viranomaisten kesken EU:ssa. Tämän ansiosta tiettyjä kysymyksiä, kuten täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita ja näytön tuottamista lääkkeen elinkaaren aikana, voidaan käsitellä johdonmukaisemmin. Uudistuksella tehostetaan myös EMAn ja muiden EU:n virastojen, kuten kemikaalialan virastojen, välistä yhteistyötä ”yksi aine, yksi arviointi” -lähestymistavan mukaisesti.

Farmasian komitea⁴⁴ toimii foorumina, jolla keskustellaan lääkkeisiin liittyvistä toimintapoliittisista kysymyksistä, kuten markkinoille saattamisen sääntelykannustimia koskevien sääntöjen soveltamisesta. Sen tavoitteena on tehostettu vuoropuhelu, tiivis yhteistyö ja ennakoiva tietojenvaihto jäsenvaltioiden ja komission välillä. Farmasian komitean keskusteluihin voidaan kutsua myös muita kansallisia viranomaisia (jotka vastaavat esim. terveydenhuollon menetelmien arvioinnista, hinnoittelusta ja korvauksista).

⁴⁴ Neuvoston päätös 75/320/ETY, tehty 20 päivänä toukokuuta 1975, farmasian komitean perustamisesta.

Viranomaisten tehostettu yhteistyö parantaa toimintapolitiikan johdonmukaisuutta ja luo ennakoitavamman ja johdonmukaisemman ympäristön sijoittajille ja innovoijille EU:ssa.

Kaiken kaikkiaan näiden uudistusten myötä sääntelykehyksestä saadaan tehokkaampi ja vaikuttavampi ja sillä voidaan paremmin vastata uusiin haasteisiin sekä tukea lääkealan kilpailukykyä ja innovointia, mikä hyödyttää potilaita EU:ssa.

5. Ympäristön kannalta kestävämmät lääkkeet

Jotta lääketeollisuudessa voidaan saavuttaa lääkestrategian ja muiden Euroopan vihreän kehityksen ohjelman⁴⁵ aloitteiden (esim. EU:n toimintasuunnitelma ”Kohti ilman, veden ja maaperän saasteettomuutta”⁴⁶) ympäristökestävyydestä tavoitteet, lääketeollisuuden on hillittävä valmistuksen ja prosessien kielteisiä vaikutuksia ympäristöön, biologiseen monimuotoisuuteen ja ihmisten terveyteen.

Tieteellinen näyttö osoittaa, että ympäristöön kulkeutuu lääkeaineita niiden valmistuksen, potilaskäytön ja käyttämättömien tai vanhentuneiden tuotteiden epäasianmukaisen hävittämisen seurauksena⁴⁷. On erityisen huolestuttavaa, että jäteveden käsittelylaitoksissa, tuotantolaitosten jätevesissä sekä pintavesissä ja pohjavesissä on havaittu mikrobilääkeaineita, koska niiden esiintyminen lisää mikrobilääkeresistenssiä (ks. 6 luku). Ympäristössä esiintyvät lääkeaineet eivät vaikuta pelkästään ympäristöön. Jos ne pääsevät veden kiertoon tai elintarvikeketjuun, ne vaikuttavat suoraan myös ihmisten terveyteen.

Näitä kielteisiä vaikutuksia on käsitelty äskettäin hyväksytyssä komission ehdotuksessa yhdyskuntajätevesien käsittelyä koskevaksi direktiiviksi⁴⁸, johon sisältyy laajennettu tuottajavastuun järjestelmä, jota sovelletaan myös lääkkeisiin, sekä komission ehdotuksessa vesidirektiivien muuttamisesta⁴⁹, jossa käsitellään pinta- ja pohjavesissä esiintyviä lääkeaineita.

Ehdotetulla lääkelainsäädännön uudistuksella täytetään useita sitoumuksia, jotka tehtiin EU:n strategisessa lähestymistavassa ympäristössä oleviin lääkeaineisiin⁵⁰. Sillä parannetaan lääkkeiden ympäristöriskien arviointia, jotta voidaan tehokkaammin arvioida ja rajoittaa lääkkeiden mahdollisia haitallisia vaikutuksia ympäristöön ja kansanterveyteen. Tällä hetkellä ympäristöriskien arviointi on pakollinen kaikille lääkeyhtiöille, jotka saattavat lääkkeitään EU:n markkinoille. Arviointiin sisältyy sekä lääkkeiden käyttö että niiden kulkeutuminen ympäristöön. Työtä EU:n ympäristönormien edistämiseksi jatketaan kansainvälisesti⁵¹.

⁴⁵ Komission tiedonanto. Euroopan vihreän kehityksen ohjelma, COM (2019) 640 final.

⁴⁶ Komission tiedonanto. Terve maapallo kaikille – EU:n toimintasuunnitelma: ”Kohti ilman, veden ja maaperän saasteettomuutta”, COM(2021) 400 final.

⁴⁷ OECD: Pharmaceutical Residues in Freshwater Hazards and Policy Responses, 2019.

⁴⁸ Ehdotus Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi yhdyskuntajätevesien käsittelystä (uudelleenlaadittu teksti), COM (2022) 541 final.

⁴⁹ https://environment.ec.europa.eu/publications/proposal-amending-water-directives_en

⁵⁰ Komission tiedonanto. Euroopan unionin strateginen lähestymistapa ympäristössä oleviin lääkeaineisiin, COM (2019) 128 final.

⁵¹ Lisätietoja komission yksiköiden valmisteluasiakirjan ”Vulnerabilities of the global supply chains of medicines” 7 jaksossa, https://health.ec.europa.eu/system/files/2022-10/mp_vulnerabilities_global-supply_swd_en.pdf.

Tehostettu ympäristöriskien arviointi myyntilupamenettelyssä

- Tehostetaan ympäristöriskien arviointia ottamalla käyttöön peruste evätä myyntilupa, jos yritykset eivät toimita riittävää näyttöä ympäristöriskien arvioinnista tai jos ehdotetut riskinhallintatoimenpiteet eivät ole riittäviä tunnistettujen riskien torjumiseksi.
- Asetetaan selkeämmät vaatimukset ympäristöriskien arvioinnille, myös tieteellisten suuntaviivojen noudattamiselle, arvioinnin säännöllisille päivityksille ja luvan myöntämisen jälkeiselle velvoitteelle toteuttaa ympäristöriskien arviointiin liittyviä lisätutkimuksia.
- Ulotetaan ympäristöriskien arviointi koskemaan antibioottien valmistuksesta ympäristölle aiheutuvia riskejä.
- Ulotetaan ympäristöriskien arviointi koskemaan kaikkia jo markkinoilla olevia valmisteita, jotka ovat mahdollisesti haitallisia ympäristölle.

Uudistuksessa otetaan käyttöön muuntogeenisiä organismeja sisältävien tai niistä koostuvien tutkimuslääkkeiden klinisiin tutkimuksiin sovellettava yksi ainoa EU:n ympäristöriskien arviointimenettely. Tämän seurauksena jäsenvaltioiden arvioinnit korvataan yhdellä yhdenmukaistetulla EU:n laajuisella arvioinnilla, mikä tarkoittaa, että klinisten lääketutkimusten toimeksiantajien ei enää tarvitse esittää useita lupahakemuksia. Myyntilupaa varten tarvittavan ympäristöriskien arvioinnin vaatimukset, jotka koskevat muuntogeenisiä organismeja sisältäviä tai niistä koostuvia lääkkeitä, perustuvat direktiivissä 2001/18/EY⁵² vahvistettuihin periaatteisiin, mutta niitä mukautetaan lääkkeiden erityispiirteiden huomioon ottamiseksi. Näillä muutoksilla poistetaan merkittäviä ja aikaa vieviä sääntelyesteitä, helpotetaan klinisiä tutkimuksia EU:ssa ja optimoidaan innovatiivisten ja käänteentekevien hoitojen arviointi- ja hyväksymismenettelyjä.

6. Mikrobilääkeresistenssin torjunta

Mikrobilääkkeet⁵³ ovat yksi tärkeimmistä lääkeryhmistä. Vuosien mittaan niiden liikkakäyttö ja väärinkäyttö ovat kuitenkin aiheuttaneet mikrobilääkeresistenssiä, mikä tarkoittaa sitä, että lääkkeitä tulee tehottomia ja infektioiden hoitaminen muuttuu yhä vaikeammaksi tai jopa mahdottomaksi. Mikrobilääkeresistenssi, eli niin kutsuttu hiljainen pandemia, aiheuttaa vuosittain yli 35 000 kuolemantapausta Euroopan unionissa⁵⁴ ja siitä koituu terveydenhuoltojärjestelmille suuria kustannuksia⁵⁵. Mikrobilääkeresistenssi on yksi kolmesta merkittävimmästä terveysuhkasta EU:ssa⁵⁶.

Jotta yleistyvää mikrobilääkeresistenssiä voidaan torjua, on olennaisen tärkeää varmistaa sekä olemassa olevien mikrobilääkkeiden saatavuus että uusien tehokkaiden mikrobilääkkeiden kehittäminen. Lisäksi ehdotetaan toimia mikrobilääkkeiden maltillisen käytön edistämiseksi, jotta mikro-organismit eivät kehittäisi vastustuskykyä niitä vastaan.

⁵² Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivi 2001/18/EY, annettu 12 päivänä maaliskuuta 2001, geneettisesti muunnettujen organismien tarkoituksellisesta levittämisestä ympäristöön ja neuvoston direktiivin 90/220/ETY kumoamisesta (EYVL L 106, 17.4.2001, s. 1).

⁵³ Mikrobilääkkeitä ovat muun muassa antibiootit, viruslääkkeet, sienilääkkeet ja alkueläinlääkkeet.

⁵⁴ <https://www.ecdc.europa.eu/sites/default/files/documents/Health-burden-infections-antibiotic-resistant-bacteria.pdf>

⁵⁵ <https://www.oecd.org/health/health-systems/AMR-Tackling-the-Burden-in-the-EU-OECD-ECDC-Briefing-Note-2019.pdf>, 2019.

⁵⁶ Komission yksiköiden ja jäsenvaltioiden tekemän selvityksen mukaan kaksi muuta ensisijaista terveysuhkaa ovat patogeeneit, jotka saattavat aiheuttaa pandemian, sekä kemialliset, biologiset, säteily- ja ydinuhkat.

Mikrobilääkkeiden käytön rajoittaminen vaikuttaa kuitenkin myyntimääriin ja myyntiluvan haltijoiden investointien tuottoon, mikä aiheuttaa häiriötä markkinoiden toiminnassa. Sen vuoksi tarvitaan kannustimia innovatiivisten mikrobilääkkeiden kehittämiseen ja mikrobilääkkeiden saatavuuden varmistamiseen.

Mikrobilääkkeiden kehittäminen, saatavuus ja maltillinen käyttö

Mikrobilääkkeiden kehittämisen ja saatavuuden kannustimet

EU tarvitsee sekä tarjonnan lisäämiseen perustuvia työntökannustimia (eli rahoitusta mikrobilääkkeitä koskevaan tutkimukseen ja innovointiin pääasiassa tutkimusapurahojen ja kumppanuuksien kautta) että (sääntelyyn perustuvia ja taloudellisia) tarpeen täyttämiseen perustuvia vetokannustimia, joilla palkitaan lääkkeiden onnistuneesta kehittämisestä ja varmistetaan tehokkaiden mikrobilääkkeiden saatavuus. Komissio ehdottaa seuraavia vetokannustimia:

- väliaikainen mekanismi, jossa uusien mikrobilääkkeiden kehittäjille voidaan myöntää siirrettävissä oleva dokumentaatio suojaan oikeuttava seteli, jonka myöntämiseen ja käyttöön sovelletaan tiukkoja ehtoja;
- uusien ja olemassa olevien mikrobilääkkeiden saatavuutta edistävät hankintamekanismit, jotka tuottavat mikrobilääkkeiden myyntilupien haltijoille tuottoja myyntimääristä riippumatta.

EU:n on kiireellisesti löydettävä älykkäitä tapoja uusien mikrobilääkkeiden kehittämiseksi. Sen vuoksi uudistuksessa ehdotetaan, että uusia mikrobilääkkeitä koskevaa siirrettävissä olevaa dokumentaatio suojaan oikeuttavaa seteliä testataan 15 vuoden ajan. Setelillä mikrobilääkkeen kehittäjä saa yhden ylimääräisen vuoden dokumentaatio suoja⁵⁷, ja kehittäjä voi käyttää setelin joko omiin valmisteisiinsa tai myydä sen toisen myyntiluvan haltijalle. Järjestelyä sovelletaan ainoastaan mullistaviin mikrobilääkkeisiin, joilla voidaan torjua mikrobilääkeresistenssiä ja jotka on kohdistettu WHO:n yksilöimiin priorisoituihin taudinaiheuttajiin. Setelin käyttöön sovelletaan tiukkoja ehtoja, jotta palkitseminen kohdistuu pääasiassa innovatiivisen mikrobilääkkeen kehittäjään. Ehdotettuun järjestelyyn sisältyy myös mikrobilääkkeen toimittamista koskevia ehtoja, joilla varmistetaan, että lääkettä saadaan toimitettua tarvittaessa.

Setelijärjestelyllä luodaan houkuttelevat liiketoimintaedellytykset sellaisten innovatiivisten mikrobilääkkeiden kehittämiseksi, joita tutkitaan ja kehitetään tällä hetkellä erittäin vähän. Järjestelyssä setelien kustannukset siirtyvät jäsenvaltioiden terveydenhuoltojärjestelmien maksettavaksi, koska seteliä hyödyntävien valmisteiden rinnakkaisvalmisteiden markkinoille tulo viivästyy. Jotta terveydenhuoltojärjestelmille aiheutuvien kustannusten määrää saadaan rajoitettua, uudistuksessa esitetään, että uusille mikrobilääkkeille voidaan myöntää enintään kymmenen seteliä 15 vuoden aikana. Kunhan seteleiden käyttöön sovelletaan tiukkoja ehtoja, ne ovat varteenotettava keino mikrobilääkeresistenssin torjumiseksi, sillä niiden hyötyjä ja kustannuksia on verrattava toimien toteuttamatta jättämisestä aiheutuviin kustannuksiin ja mikrobilääkeresistenssin kansanterveydelle ja taloudelle aiheuttamiin vaikutuksiin. Kun 15 vuotta on kulunut, setelijärjestely arvioidaan.

Setelijärjestelyn lisäksi taloudelliseksi vetokannustimiksi ehdotetaan hankintamekanismeja. Mikroblääkeresistenssiin liittyvien lääketieteellisten vastatoimien saamista markkinoille

⁵⁷ Dokumentaatio suoja on selitetty tarkemmin tämän tiedonannon 4 luvussa.

koskevassa komission tutkimuksessa⁵⁸ arvioitiin neljää pääasiallista hankintamekanismien tyyppiä, jotka voivat auttaa lisäämään kehittäjien tulo-odotuksia. Arvioidut tyypit ovat tulotakuu, markkinoilletulopalkkiot yhdistettynä tulotakuuseen, kertakorvauksena maksettavat markkinoilletulopalkkiot ja välitavoitemaksut. Vuotuisessa tulotakuujärjestelmässä viranomaiset täydentävät lääkkeiden kehittäjien tuloja, jotta ne saavuttavat ”taatun” määrän. Jos myynti ylittää tietyn rajan, täydennystä ei makseta. Markkinoilletulopalkkiot ovat useiden maksujen sarja, joka maksetaan antibioottien kehittäjille, jotka ovat saaneet viranomaisen hyväksynnän tietyt ennalta määritellyt kriteerit täyttävälle antibiootille. Välitavoitteisiin perustuva maksu on alkuvaiheen palkkio tiettyjen tutkimus- ja kehittämistavoitteiden saavuttamisesta ennen myyntiluvan saamista (esim. vaiheen I saattaminen onnistuneesti päätökseen). Vaikka näillä mekanismeilla pyritäänkin ensisijaisesti mahdollistamaan olemassa olevien mikrobilääkkeiden saatavuus, niitä voitaisiin soveltaa myös uusien mikrobilääkkeiden kehittämisvaiheeseen. Alustavassa toteutettavuusarvioinnissa todettiin, että kaikki vaihtoehdot voidaan toteuttaa hankintoina huolimatta joistakin huomattavista rajoituksista ja näkökohdista, jotka edellyttävät perusteellista lisätutkimusta. Rahoitusta tarvitaan todennäköisesti sekä EU:lta että jäsenvaltioilta.

On tärkeää, että mikrobilääkkeiden kehittämistä tuetaan maailmanlaajuisesti. EU:n on tehostettava yhteistyötä olemassa olevilla foorumeilla, erityisesti G7-ryhmässä, G20-ryhmässä ja mikrobilääkeresistenssiä käsittelevässä transatlanttisessa erityistyöryhmässä sekä Maailman terveysjärjestön, YK:n elintarvike- ja maatalousjärjestön, Maailman eläintautijärjestön ja YK:n ympäristöohjelman muodostamassa ryhmässä, mikrobilääkeresistenssiä koskevassa YK:n monenvälisessä erityisrahastossa samoin kuin neuvotteluissa mahdollisesta pandemioiden ehkäisyä, niihin varautumista ja reagointia koskevasta Maailman terveysjärjestön kansainvälisestä sopimuksesta⁵⁹ ja alueellisissa instituutioissa, kuten Afrikan unionissa.

Toimenpiteet mikrobilääkkeiden maltillisen käytön edistämiseksi

- Lääkelainsäädännön uudistuksen myötä maltillista käyttöä edistävät toimenpiteet otetaan osaksi myyntiluvan myöntämismenettelyä. Toimenpiteet koskevat reseptinvaraisuutta, sopivaa pakkauskokoa, potilaalle / terveydenhuollon ammattilaiselle annettavia tietoja sekä mikrobilääkkeiden käytön hallintaohjelmaa, mukaan lukien riskinhallintatoimenpiteet sekä mikrobilääkeresistenssiä koskeva seuranta ja raportointi.
- Ehdotuksessa neuvoston suositukseksi ehdotetaan myös muita tukitoimenpiteitä, kuten suositeltuja tavoitteita sekä toimenpiteitä, joilla edistetään infektioiden tehokasta ehkäisyä ja valvontaa, parannetaan tietoisuutta ja koulutusta sekä kaikkien asiaankuuluvien alojen sidosryhmien välistä yhteistyötä.

Mikrobilääkkeiden käyttöä ja resistenssiä koskevat suositukset

Ehdotetussa neuvoston suosituksessa esitetään konkreettisia ja mitattavissa olevia tavoitteita, joilla vähennetään mikrobilääkkeiden käyttöä ja mikrobilääkeresistenssin leviämistä ihmislääketieteessä. Nämä tavoitteet on määritellyt Euroopan tautien ehkäisy- ja -valvontakeskuksen kanssa ja niissä on otettu huomioon kansalliset tilanteet sekä

⁵⁸ Euroopan komissio, Euroopan terveys- ja digitaaliasioiden toimeenpanovirasto, Study on bringing AMR medical countermeasures to the market: final report, Euroopan unionin julkaisutoimisto, 2023, <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/51b2c82c-c21b-11ed-8912-01aa75ed71a1/language-en>

⁵⁹ <https://www.who.int/news-room/questions-and-answers/item/pandemic-prevention--preparedness-and-response-accord>

mikrobilääkkeiden käytön yleisyys ja yleisimpien resistenttien taudinaiheuttajien leviäminen eri jäsenvaltioissa. Niiden avulla tukea voidaan antaa kohdennetusti ja tilannetta voidaan seurata tulevinä vuosina.

Muut suositellut toimenpiteet mikrobilääkeresistenssin torjumiseksi

Ehdotetulla neuvoston suosituksella myös vauhditetaan mikrobilääkeresistenssiä koskevia kansallisia yhteinen terveys -toimintasuunnitelmia, edistetään tutkimusta ja innovointia, tehostetaan mikrobilääkeresistenssin ja mikrobilääkkeiden kulutuksen seurantaa ja valvontaa, lisätään maailmanlaajuisia yhteistyötä ja kannustetaan kehittämään muita lääketieteellisiä vastatoimia mikrobilääkeresistenssille, kuten rokotteita ja nopeaa diagnostiikkaa, joilla on myös merkittävä vaikutus. Ehdotetulla neuvoston suosituksella myös vahvistetaan mikrobilääkeresistenssin torjumistoimien puitteita yhdistämällä yhteinen terveys -lähestymistapa muihin EU:n politiikkoihin, yhteiseen maatalouspolitiikkaan⁶⁰, Pellolta pöytään -strategiaan⁶¹, saasteettomuustoimintasuunnitelmaan⁶² (jonka tavoitteena on vähentää tuotantoeläimille ja vesiviljelyssä käytettävien mikrobilääkkeiden kokonaisyhteistä EU:ssa 50 prosentilla vuoteen 2030 mennessä), EU:n Horisontti Eurooppa -ohjelmaan⁶³ ja komission viimeaikaisiin ehdotuksiin, joilla mikrobilääkeresistenssin ympäristöseuranta tehostetaan entisestään⁶⁴.

7. Päätelmät

Ehdotetun lääkelainsäädännön uudistuksen myötä Euroopan unioni vahvistuu ja sen häiriönsietokyky kasvaa. Näin unioni voi suojella paremmin kansalaistensa terveyttä. Uudistuksella edistetään turvallisten, tehokkaiden ja kohtuuhintaisten lääkkeiden nopeaa ja tasapuolista saatavuutta potilaiden lääketieteellisiin tarpeisiin kaikkialla EU:ssa. Lisäksi sillä lisätään innovointia ja tuetaan lääketieteellisen kilpailukykyä sekä parannetaan lääkkeiden ympäristökestävyyttä koko niiden elinkaaren ajan.

Samanaikaisesti ehdotus mikrobilääkeresistenssiä koskevaksi neuvoston suositukseksi ja siihen liittyvät toimenpiteet, joita ehdotetaan EU:n lääkelainsäädännön uudistuksen yhteydessä, täydentävät ja laajentavat vuonna 2017 hyväksytyn mikrobilääkeresistenssin torjuntaa koskevan eurooppalaisen yhteinen terveys -toimintasuunnitelman mukaisia toimia. Näillä ehdotuksilla EU:lle annetaan välineet tämän hiljaisen pandemian torjumiseksi.

⁶⁰ https://agriculture.ec.europa.eu/common-agricultural-policy/cap-overview/cap-glance_fi

⁶¹ Komission tiedonanto Euroopan parlamentille, neuvostolle, Euroopan talous- ja sosiaalikomitealle ja alueiden komitealle ”Pellolta pöytään -strategia oikeudenmukaista, terveyttä edistävää ja ympäristöä säästävää elintarvikejärjestelmää varten”, COM/2020/381 final.

⁶² Komission tiedonanto Euroopan parlamentille, neuvostolle, Euroopan talous- ja sosiaalikomitealle ja alueiden komitealle ”Terve maapallo kaikille – EU:n toimintasuunnitelma: ”Kohti ilman, veden ja maaperän saasteettomuutta”, COM/2021/400 final.

⁶³ Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukset (EU) 2021/695, annettu 28 päivänä huhtikuuta 2021, tutkimuksen ja innovoinnin puiteohjelman ”Horisontti Eurooppa” perustamisesta, sen osallistumista ja tulosten levittämistä koskevien sääntöjen vahvistamisesta sekä asetusten (EU) N:o 1290/2013 ja (EU) N:o 1291/2013 kumoamisesta (EUVL L 170, 12.5.2021, s. 1).

⁶⁴ Komission ehdotus Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi, annettu 26 päivänä lokakuuta 2022, yhteisön vesipolitiikan puitteista annetun direktiivin 2000/60/EY, pohjaveden suojelusta pilaantumiselta ja huononemiselta annetun direktiivin 2006/118/EY ja ympäristönsuojelun alalla annetun direktiivin 2008/105/EY muuttamisesta, COM/2022/540 final 2022/0344 (COD), ja komission ehdotus, annettu 26 päivänä lokakuuta 2022, Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi yhdyskuntajätevesien käsittelystä (uudelleenlaadittu teksti), COM/2022/541 final, 2022/0345 (COD).

Uudistuksen yhteydessä esitetty kunnianhimoinen ehdotuspaketti tuo näin olleen pysyviä terveys-, sosiaali-, talous- ja ympäristöhyötyjä EU:n kansalaisille. Ehdotukset tukevat EU:n lääkealan innovointikapasiteettia ja kilpailukykyä. Niillä pyritään löytämään ratkaisuja maailmanlaajuisiin haasteisiin, kuten mikrobilääkeresistenssiin ja ympäristön kestävyYTEEN, ja vahvistetaan samalla EU:n maailmanlaajuista johtoasemaa lääkealalla, kasvatetaan EU:n roolia globaalissa terveydessä sekä tuetaan EU:n globaalin terveysstrategian käyttöönottoa.