



Briselē, 28.3.2014.  
COM(2014) 188 final

**KOMISIJAS ZIŅOJUMS EIROPAS PARLAMENTAM UN PADOMEI**

**saskaņā ar 25. pantu Eiropas Parlamenta un Padomes Regulā (EK) Nr. 1394/2007 par  
uzlabotas terapijas zālēm, un ar ko groza Direktīvu 2001/83/EK un  
Regulu (EK) Nr. 726/2004**

(Dokuments attiecas uz EEZ)

## KOMISIJAS ZIŅOJUMS EIROPAS PARLAMENTAM UN PADOMEI

### saskaņā ar 25. pantu Eiropas Parlamenta un Padomes Regulā (EK) Nr. 1394/2007 par uzlabotas terapijas zālēm, un ar ko groza Direktīvu 2001/83/EK un Regulu (EK) Nr. 726/2004

(Dokuments attiecas uz EEZ)

#### 1. IEVADS

Zinātnes attīstībā panākts, ka ir radītas jauna veida zāles, kuru pamatā ir gēnu terapija, somatisko šūnu terapija vai audu inženierija. Lai tā dēvēto jaunievietās terapijas zāļu tirgošanai nodrošinātu vienotu tiesisko regulējumu, 2007. gadā tika pieņemta Eiropas Parlamenta un Padomes Regula Nr. 1394/2007 par uzlabotas terapijas zālēm (turpmāk "JTZ regula")<sup>1</sup>.

Jaunievietās (uzlabotas) terapijas zāļu regulu izstrādāja, lai augstā līmenī nodrošinātu cilvēku veselības aizsardzību un jaunievietās terapijas zāļu brīvu apriti ES teritorijā. Regulas galvenā nostādne ir tāda, ka pirms jaunievietās terapijas zāļu tirgošanas ir jāiegūst tirdzniecības atļauja. Tirdzniecības atļauju savukārt var piešķirt tikai pēc tam, kad kvalitātes, iedarbīguma un drošuma profila zinātniskā novērtēšanā pierādīts, ka ieguvumi pārsniedz riskus. Tirdzniecības atļaujas pieteikums jāiesniedz Eiropas Zāļu aģentūrai (turpmāk "Aģentūra"), un galīgo lēmumu pieņem Komisija. Šī procedūra nodrošina, ka minētās zāles novērtē specializēta organizācija (Jaunievietās terapijas zāļu komiteja (turpmāk CAT)) un ka tirdzniecības atļauja ir derīga visās ES dalībvalstīs.

JTZ regula Aģentūru pilnvaroja dot zinātniskus ieteikumus par to, vai attiecīgais produkts būtu uzskatāms par jaunievietās terapijas zālēm (turpmāk "klasificēšana"). Turklāt tā paredzēja jaunu instrumentu, tā dēvēto sertifikācijas procedūru, kas izstrādāta kā stimulants maziem un vidējiem uzņēmumiem (turpmāk "MVU"), kuri bijuši iesaistīti jaunievietās terapijas zāļu izstrādes sākumposmos, bet kuriem nav pieticis resursu zāļu klīnisko izmēģinājumu veikšanai. Jo īpaši tika gaidīts, ka sertifikācija par to, ka izstrāde kvalitātes aspektā un pirmsklīniskajā aspektā atbilst attiecīgajām regulatīvajām prasībām, dos iespēju MVU labāk piesaistīt kapitālu un pētniecības darbības veiksmīgāk nodot subjektiem, kuri spēj tirgot zāles.

JTZ regulu piemēro kopš 2008. gada 30. decembra. Tomēr attiecībā uz jaunievietās terapijas zālēm, kas regulas pieņemšanas brīdī jau bija ES tirgū, bija paredzēts pārejas periods. Konkrētāk, tika izvirzīta prasība, ka attiecībā uz gēnu terapijas zālēm un somatisko šūnu terapijas zālēm atbilstība regulai jānodrošina līdz 2011. gada 30. decembrim, savukārt attiecībā uz audu inženierijas produktiem atbilstība jaunajām prasībām jānodrošina līdz 2012. gada 30. decembrim.

Šajā ziņojumā, kas sagatavots saskaņā ar JTZ regulas 25. pantu, Komisija pārskata stāvokli attiecībā uz jaunievietās terapijas zālēm Eiropas Savienībā un analizē, kā regula ietekmējusi jaunievietās terapijas. Ziņojumā ir ņemti vērā rezultāti, kas gūti

<sup>1</sup> Eiropas Parlamenta un Padomes 2007. gada 13. novembra Regula (EK) Nr. 1394/2007 par uzlabotas terapijas zālēm, un ar ko groza Direktīvu 2001/83/EK un Regulu (EK) Nr. 726/2004 (OV L 324, 10.12.2007., 121. lpp.).

Komisijas dienestu īstenotā sabiedriskā apspriešanā par JTZ regulas piemērošanu (turpmāk "sabiedriskā apspriešana")<sup>2</sup>.

## **2. PĒTNIECĪBAS UN IZSTRĀDES PASĀKUMI ATTIECĪBĀ UZ JAUNIEVIESTAJĀM TERAPIJĀM EIROPAS SAVIENĪBĀ: LĪDZŠINĒJAIS STĀVOKLIS**

Attiecībā uz jaunieviestajām terapijām Eiropas Savienībā notiek būtiska pētniecība. Konkrētāk, datubāzē *EudraCT*<sup>3</sup> no 2004. līdz 2010. gadam paziņoto atšķirīgo jaunievietās terapijas zāļu skaits sasniedza jau 250.

Jaunieviesto terapiju pētniecību lielākoties veic mazie uzņēmumi un bezpeļņas subjekti. Tādējādi gandrīz 70 % no datubāzē *EudraCT* paziņoto klīnisko izmēģinājumu sponsoriem ir bezpeļņas organizācijas vai MVU; lieli farmācijas uzņēmumi ir mazāk nekā 2 % no visiem sponsoriem. Arī lielāko daļu pieteikumu attiecībā uz zinātniskām konsultācijām Jaunievietās terapijas zāļu komitejai iesniedz MVU (sk. 3.5. sadaļu).

Kopumā ir grūti panākt, lai izpētes darbības pārtaptu pacientiem pieejamās zālēs. Tirdzniecības atļauju galu galā piešķir tikai nelielai daļai vielu, kuru molekulas pēta kā iespējamās zāles. Lielākā daļa pētīto molekulu dažādu iemeslu dēļ netiek pat testētas ar cilvēkiem (piemēram, molekulas hipotētiskā darbība vai darbības mehānisms negūst apstiprinājumu vai preklīniskie pētījumi pierāda, ka drošuma profils nav pieņemams.) Turklāt tiek lēsts, ka tirdzniecības atļauja vidēji tiek iegūta mazāk nekā ceturtajai daļu vielu, kuru molekulas testē klīniskos izmēģinājumos. No kādas aktīvās vielas identificēšanas līdz zāļu atļaujai parasti var paiet vairāk nekā desmit gadi.

Jaunievietās terapijas zāļu izstrādātājiem papildu grūtības rada jaunieviesto terapiju specifiskās īpatnības. Piemēram, izejmateriāli ir mainīgi, tāpēc ir grūti pierādīt produkta viendabīgumu. Plaša testēšana var nebūt iespējama, jo parasti ir pieejamas mazas partijas ar neilgu glabāšanas laiku (no dažām stundām līdz dažām dienām). Turklāt ne vienmēr ir iespējams īstenot nejaušinātus kontrolētus klīniskus izmēģinājumus, kā tas ir gadījumos, kur zāļu ievadīšanai nepieciešama ķirurģiska procedūra (tā ir ar lielāko daļu audu inženierijas produktu) vai kur alternatīva terapija nav pieejama.

Jaunievietās terapijas zāļu izstrādi turklāt kavē tas, ka pētniekiem parasti trūkst pienācīga finansējuma un zināšanu par tiesisko regulējumu, lai tie varētu sekmīgi iziet tirdzniecības atļaujas procedūras. Savukārt investorus ļoti attur nenoteiktība attiecībā uz investīciju ienesīgumu.

## **3. PĀRSKATS PAR JTZ REGULAS PIEMĒROŠANU NO 2009. GADA 1. JANVĀRA LĪDZ 2013. GADA 30. JŪNIJAM**

JTZ regula bijis svarīgs solis pacientu aizsargāšanā no zinātniski nepamatotas terapijas. JTZ regula ir radījusi arī vienotu satvaru jaunieviesto terapiju novērtēšanai Eiropas Savienībā.

Jaunievietās terapijas vēl tikai sāk izstrādāt, un tirdzniecības atļauja ir piešķirta tikai četrām jaunievietās terapijas zālēm. Tomēr *CAT* zinātnisko konsultāciju un klasificēšanas jomā darbojas daudz aktīvāk, notiek daudz ar jaunievietās terapijas

<sup>2</sup> [http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013\\_05\\_pc\\_atmp/2013\\_04\\_03\\_pc\\_summary.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013_05_pc_atmp/2013_04_03_pc_summary.pdf).

<sup>3</sup> Klīnisko izmēģinājumu datubāze: visi Eiropas Savienībā pēc 2004. gada 1. maija sāktie izmēģinājumi.

zālēm saistītu klīnisko izmēģinājumu, un tas liecina par pētniecības nozares dinamismu.

### 3.1. Specializēta organizācija un pielāgots tiesiskais regulējums

Regulas 20. pantā paredzētās CAT izveidošana ir svarīgs sasniegums JTZ regulas īstenošanā. Jaunievietās terapijas zāļu kvalitātes, drošuma un iedarbīguma vērtēšanai komiteja pulcē dažus no labākajiem ekspertiem, kādi Eiropas Savienībā pieejami. Komitejas pirmā sanāksme notika 2009. gada janvārī. Turklāt 2010. gada novembrī tika izveidota CAT padomdevēja grupa attiecībā uz kombinētām jaunievietās terapijas zālēm – būtībā CAT un medicīnisko ierīču jomā pilnvaroto iestāžu sadarbības grupa<sup>4</sup>.

JTZ regula Komisiju pilnvaroja pieņemt konkrētas prasības attiecībā uz tirdzniecības atļauju pieteikumu saturu, labu ražošanas praksi, labu klīnisko praksi un jaunievietās terapijas zāļu izsekojamību. Ar Direktīvas 2001/83/EK pielikuma IV daļas grozījumu, ko pieņēma 2009. gada 14. septembrī, tika pielāgotas dažas prasības attiecībā uz jaunievietās terapijas zāļu tirdzniecības atļaujas pieteikumu saturu<sup>5</sup>. Turklāt kopš 2013. gada 31. janvāra spēkā ir pārskatīta vadlīnija "*Guideline on good manufacturing practice containing specific adaptations for ATMP*"<sup>6</sup>. Tomēr joprojām nav pieņemtas konkrētas prasības attiecībā uz labu klīnisko praksi un izsekojamību, jo tika uzskatīts, ka vēl vajadzīga papildu pieredze, lai labāk izprastu, kāda veida pielāgojumi ir nepieciešami<sup>7</sup>.

Konkrētus noteikumus par sertificēšanas procedūru pieņēma ar Komisijas 2009. gada 24. jūlija Regulu (EK) Nr. 668/2009<sup>8</sup>.

### 3.2. Tirdzniecības atļaujas

Aģentūrai līdz 2013. gada 30. jūnijam ir iesniegti desmit tirdzniecības atļaujas pieteikumi attiecībā uz jaunievietās terapijas zālēm. No tiem pieci attiecas uz zālēm, kas agrāk bijušas ES tirgū.

No desmit tirdzniecības atļaujas pieteikumiem attiecībā uz četriem procedūra ir sekmīgi pabeigta un Komisija ir piešķirusi tirdzniecības atļauju:

- **ChondroCelect**, audu inženierijas produkts, atsevišķu simptomātisku augšstilba kaula paugura ceļgala skrimšļa defektu labošanai indicēts pieaugušiem pacientiem<sup>9</sup>;
- **Glybera**, gēnu terapijas zāles, indicētas pieaugušiem pacientiem, kam diagnosticēta ģimenē pārmantota lipoproteīna lipāzes nepietiekamība (LPLD)

<sup>4</sup> [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2010/12/WC500099532.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2010/12/WC500099532.pdf).

<sup>5</sup> Komisijas Direktīva 2009/120/EK, ar ko attiecībā uz jaunievietās terapijas zālēm groza Eiropas Parlamenta un Padomes Direktīvu 2001/83/EK par Kopienas kodeksu, kas attiecas uz cilvēkiem paredzētām zālēm (OV L 242, 15.9.2009., 3. lpp.).

<sup>6</sup> [http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-4/vol4-an2\\_2012-06\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-4/vol4-an2_2012-06_en.pdf).

<sup>7</sup> Tomēr Komisijas dienesti ir publicējuši dažus ieteikumus par labu klīnisko praksi attiecībā uz jaunievietās terapijas zālēm ([http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-10/2009\\_11\\_03\\_guideline.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-10/2009_11_03_guideline.pdf)).

<sup>8</sup> Komisijas Regula (EK) Nr. 668/2009, ar ko īsteno Eiropas Parlamenta un Padomes Regulu (EK) Nr. 1394/2007 attiecībā uz to kvalitātes un pirmsklīnisko datu novērtēšanu un sertificēšanu, kuri attiecas uz jaunievietās terapijas zālēm, ko izstrādā mikrouzņēmumi, mazie un vidējie uzņēmumi (OV L 194, 25.7.2009., 7. lpp.).

<sup>9</sup> Tirdzniecības atļauja piešķirta ar Komisijas 2009. gada 5. oktobra Lēmumu C(2009) 7726.

un smagas vai vairākkārtējas pankreatīta lēkmes, neraugoties uz tauku ierobežojumu diētā<sup>10</sup>;

- **MACI**, kombinētas jaunievietās terapijas zāles, simptomātisku pilnbiezuma 3-20 cm<sup>2</sup> lieluma ceļgala skrimšļa defektu (III un IV klase pēc modificētās Auterbridža skalas) labošanai indicētas pieaugušiem pacientiem ar nobriedušu skeletu<sup>11</sup>;
- **Provenge**, somatiskas šūnu terapijas zāles, asimptomātiska vai minimāli simptomātiska metastātiska (iekšējos orgānus neskaroša), pret kastrāciju rezidenta prostratas vēža ārstēšanai indicētas pieaugušiem vīriešiem, kam vēl nav klīniski indicēta ķīmijterapija<sup>12</sup>.

Savukārt četri tirdzniecības atļaujas pieteikumi nav apstiprināti. Viens no šiem pieteikumiem attiecās uz zālēm, kas bija tirgū pirms JTZ regulas stāšanās spēkā.

Divi tirdzniecības atļaujas pieteikumi 2013. gada 30. jūnijā atradās *CAT* novērtēšanā.

### 3.3. Klasificēšana

Līdz 2013. gada 30. jūnijam *CAT* bija saņēmusi 87 klasificēšanas pieprasījumus un izdevusi 81 klasificēšanas ieteikumu<sup>13</sup>. Gandrīz pusi no visiem klasificēšanas pieprasījumiem iesniedza MVU, un vēl 15 % bija no bezpeļņas sektora. Lielo farmācijas uzņēmumu iesniegtie klasificēšanas pieprasījumi bija apmēram 5 % visu iesniegumu.

### 3.4. Sertifikācija

Līdz 2013. gada 30. jūnijam Aģentūrai bija iesniegti tikai trīs sertifikācijas pieprasījumi. Divi no šiem pieprasījumiem attiecās tikai uz kvalitātes datiem, savukārt trešais attiecās gan uz kvalitātes datiem, gan uz neklīniskajiem datiem. Visos trijos gadījumos *CAT* piešķīra sertifikāciju.

### 3.5. Zinātniskās konsultācijas

Līdz 2013. gada 30. jūnijam Aģentūra bija sniegusi zinātniskas konsultācijas par jaunievietās terapijas zālēm 93 gadījumos; konsultācijas attiecās uz 65 dažādām zālēm. Vairāk nekā 60 % zinātnisko konsultāciju pieprasījumu bija iesnieguši MVU, savukārt vēl 6 % nāca no akadēmiskās vides. Lielo farmācijas uzņēmumu pieprasījumu bija mazāk nekā 10 % visu pieprasījumu.

Turklāt atzīmēts, ka no septiņi no desmit tirdzniecības atļaujas pieprasījumu iesniedzējiem iepriekš bija pieprasījuši zinātnisku konsultāciju.

## 4. ANALĪZE

JTZ regulas ieguldījumu sabiedrības veselības jomā varētu mērīt ar diviem parametriem: pirmkārt, jaunu jaunievietās terapijas zāļu pieejamība Eiropas Savienībā un, otrkārt, atļauto jaunievietās terapijas zāļu iedarbīgums un drošums.

<sup>10</sup> Tirdzniecības atļauja piešķirta ar Komisijas 2012. gada 25. oktobra Lēmumu C(2012) 7708.

<sup>11</sup> Tirdzniecības atļauja piešķirta ar Komisijas 2013. gada 27. jūnija Lēmumu C(2013) 4190.

<sup>12</sup> Tirdzniecības atļauja piešķirta ar Komisijas 2013. gada 6. septembra Lēmumu C(2013) 5841.

<sup>13</sup> Attiecībā uz pārējiem sešiem pieteikumiem klasificēšanas procedūra turpinājās.

Nekādi dati gan neliecina, ka JTZ regulas prasības nav pietiekami stingras, lai būtu nodrošināts, ka atļautas tiek vienīgi zāles ar labu kvalitātes, iedarbīguma un drošuma profilu, taču jāapsver, vai sabiedrības veselības aizsardzības augsto līmeni, kura sasniegšanai regula paredzēta, negrauj tas, ka produktus ar jaunievietās terapijas zāļu īpašībām tirgo arī ārpus JTZ regulas regulējuma (piem., saskaņā ar tiesisko regulējumu, ko piemēro audiem un šūnām vai medicīniskajām ierīcēm, vai kam citam).

Turklāt ir jāapsver, vai ir iespējams sekmēt, lai pacientiem kļūtu pieejams vairāk jaunievietās terapijas zāļu.

#### **4.1. Jaunievietās terapijas zāļu ietekme uz jau esošo jaunievietās terapijas zāļu pieejamību**

##### *4.1.1. Jaunievietās terapijas, kas Eiropas Savienībā bija pieejamas pirms Jaunievietās terapijas zāļu regulas*

Par to, cik jaunievietās terapijas zāļu bija ES tirgū, pirms JTZ regula stājās spēkā, grūti iegūt precīzus skaitļus. Tas daļēji izskaidrojams ar jaunievietās terapijas zāļu definīcijas piemērošanas grūtībām (sk. 4.3. sadaļu).

Dalībvalstis ziņojušas, ka pirms JTZ regulas stāšanās spēkā ES tirgū likumīgi bija 31 jaunievietās terapijas zāles<sup>14</sup>. Šis skaitlis jāvērtē piesardzīgi, jo, no vienas puses, var būt, ka vairāk nekā viena dalībvalsts ziņojusi par vienām un tām pašām zālēm un, no otras puses, visas dalībvalstis nav varējušas iesniegt ziņojumu. Pat attiecībā uz dalībvalstīm, kas ziņojumu iesniegušas, nevar izslēgt, ka iesniegtie skaitļi nav pilnīgi, jo vairākas zāles var būt laistas tirgū kā audi/šūnas vai medicīniskas ierīces, lai gan uz tām bijis iespējams attiecināt jaunievietās terapijas zāļu definīciju.

Jāpiebilst, ka vairākas dalībvalstis norādījušas, ka jaunievietās terapijas zāles to teritorijā pirms JTZ regulas stāšanās spēkā nav bijušas pieejamas, un tas, ka zāles nav pieejamas, vairāk raksturīgs mazākajām dalībvalstīm.

##### *4.1.2. Jaunievietās terapijas pēc JTZ regulas stāšanās spēkā*

Aģentūra saņēmusi maz tirdzniecības atļaujas pieteikumu (sk. 3.2. sadaļu), un tas liecina, ka daudzi izstrādātāji, kas darbojušies ar jaunievietās terapijas zālēm, kuras bijušas tirgū pirms JTZ regulas stāšanās spēkā, tirdzniecības atļaujas pieteikumus nav iesnieguši.

Saskaņā ar dalībvalstu ziņotajiem datiem<sup>15</sup> līdz 2012. gada aprīlim ir piešķirti vairāk nekā 60 izņēmumi attiecībā uz pienākumu pirms jaunievietās terapijas zāļu tirgošanas iegūt tirdzniecības atļauju. Izņēmumi ir piešķirti saskaņā ar Direktīvas 2001/83 3. panta 7. punktu (tā dēvētais "slimnīcu izņēmums"), kā arī saskaņā ar citām minētās direktīvas normām, proti, 5. pantu<sup>16</sup>.

No tā izriet, ka JTZ regulas spēkā stāšanās ietekmi uz iepriekš pieejamu terapiju pieejamību praktiski konstatēt ir grūti.

<sup>14</sup> Apkopoti dati par EMA aptaujām, 2007. un 2009. gads.

<sup>15</sup> [http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013\\_05\\_pc\\_atmp/07\\_2\\_pc\\_atmp\\_2013.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/advtherapies/2013_05_pc_atmp/07_2_pc_atmp_2013.pdf).

<sup>16</sup> Direktīvas 2001/83 5. panta 1. punktā paredzēts, ka dalībvalsts var neattiecināt šīs direktīvas noteikumus uz zālēm, ko piegādā, izpildot *bona fide* pasūtījumu, kura izdarīšana nav pieprasīta, un kas izgatavotas saskaņā ar pilnvarota veselības aprūpes speciālista specifikācijām un ir paredzētas atsevišķu pacientu lietošanai, tiem uzņemoties tiešu personisku atbildību.

No vienas puses, būtisku skaitu jau esošu jaunievietās terapijas zāļu joprojām lieto bez tirdzniecības atļaujas un ar dalībvalstu piešķirtiem izņēmumiem (slimnīcu izņēmums vai citi).

No otras puses, lielākā daļa jaunievietās terapijas zāļu, par kuru tirgošanu to teritorijā dalībvalstis ziņojušas, pirms JTZ regula stājās spēkā, bijušas hondrocītus saturošas zāles (16 no 31). Tā kā saskaņā ar JTZ regulu piešķirtā tirdzniecības atļauja ir derīga visās dalībvalstīs un tā kā attiecībā uz hondrocītus saturošām zālēm ir piešķirtas divas tirdzniecības atļaujas, iespējams, ka sakarā ar JTZ regulas piemērošanu šīs zāles faktiski ir kļuvušas pieejamas plašākā ES teritorijā.

#### 4.2. Slimnīcu izņēmums

JTZ regula pilnvaro dalībvalstis atļaut, ka pēc pasūtījuma neierastas procedūras ceļā izgatavotas jaunievietās terapijas zāles var izmantot bez tirdzniecības atļaujas ar nosacījumu, ka zāles izmanto slimnīcā individuālam pacientam, ārstniecības personai uzņemoties profesionālu atbildību<sup>17</sup>. Tā dēvētajam slimnīcu izņēmumam nepieciešams, lai attiecībā uz kvalitāti, izsekojamību un farmakovigilanci dalībvalsts piemērotu prasības, kas līdzvērtīgas prasībām, kuras izvirzītas attiecībā uz atļautām zālēm.

Slimnīcu izņēmums pacientam paver iespēju kontrolētos apstākļos saņemt jaunievietās terapijas zāles tādos gadījumos, kur atļautas zāles nav pieejamas. Turklāt ar slimnīcu izņēmuma palīdzību bezpeļņas organizācijām (piemēram, akadēmiskām iestādēm un slimnīcām) ir vienkāršāk nodarboties ar pētniecību un izstrādi, un šis izņēmums var kalpot par vērtīgu rīku, kā iegūt informāciju pirms pieteikšanās uz tirdzniecības atļauju.

Tomēr kopš regulas spēkā stāšanās uzkrātā pieredze liecina par risku, ka slimnīcu izņēmumu lietos pārāk plaši, kavējot tirdzniecības atļauju pieteikumu iesniegšanu. Konkrētāk, jaunievietās terapijas zālēm, kam ir tirdzniecības atļauja, izstrādes un uzturēšanas izmaksas ir augstākas nekā jaunievietās terapijas zālēm, kas darītas pieejamas, izmantojot slimnīcu izņēmumu. Tas izskaidrojams ar stingrākām datu prasībām un pienākumiem pēc laišanas tirgū. Tāpēc izstrādātāji, kas piesakās uz tirdzniecības atļauju, ir neizdevīgos konkurences apstākļos salīdzinājumā ar izstrādātājiem, kas zāles tirgo ar slimnīcu izņēmuma starpniecību.

Ja par jaunievietās terapijas zāļu parasto tirdzniecības ceļu kļūš slimnīcu izņēmums, tas nelabvēlīgi ietekmēs sabiedrības veselību. Pirmkārt, galvenais līdzeklis, kā iegūt uzticamu informāciju par kādu zāļu iedarbīgumu un drošuma profilu, joprojām ir klīniskie izmēģinājumi un sarežģītu zāļu sistemātiska došana pacientiem bez pienācīgiem klīniskiem izmēģinājumiem varētu pacientus apdraudēt. Otrkārt, daudz grūtāk būtu vākt datus par terapijas iedarbīgumu un drošumu, jo informācija katrā vietā aptvertu tikai nelielu skaitu pacientu un netiktu nodota iestādēm citā dalībvalstī, kurā arī izmanto tāda paša veida zāles saskaņā ar slimnīcas izņēmumu. Turklāt terapija nebūtu pieejama visiem pacientiem visā ES teritorijā.

Tāpēc ir nepieciešams rast līdzsvaru starp vajadzību nodrošināt, lai jaunievietās terapijas zāles pacientiem darītu pieejamas tikai pēc tam, kad ir pietiekami pierādīta to kvalitāte, iedarbīgums un drošums, un vajadzību sekmēt to, lai neapmierinātu medicīnisko vajadzību gadījumā jau drīz būtu pieejamas jaunas terapijas.

<sup>17</sup> JTZ regulas 28. panta 2. punkts, ar ko savukārt grozīts Direktīvas 2001/83 3. pants.

Sabiedriskajā apspriešanā ir noskaidrotas arī bažas par to, ka netiek saskaņoti nosacījumi, ko dalībvalstis izvirza gadījumos, kur piemēro izņēmumus. Dažādās dalībvalstīs šo izņēmumu izmanto visai atšķirīgi, kas daļēji izskaidrojams ar to, ka dažāda ir pieeja termina "neierasts" nozīmei. Piemēram, dažās valstīs jēdzienu "neierasts" tulko šauri, to ierobežojot ar noteiktu maksimālo pacientu skaitu, savukārt citās nekādu ierobežojumu nav un izņēmumu piemēro katram gadījumam individuāli.

Jaunieviestās terapijas iekšējā tirgus darbību varētu sekmēt, precizējot, kādos apstākļus ir iespējams slimnīcu izņēmums un kādas ir ar to saistītās prasības. Šajā sakarā pienācīga nozīme būtu jāpiešķir ziņošanai par rezultātiem, jo īpaši negatīviem rezultātiem, lai pacienti netiktu nevajadzīgi pakļauti nedrošai vai maziedarbīgai terapijai.

Papildus būtu vēlams precizēt citus jautājumus, kuru vidū ir:

- kāda nozīme jaunieviestās terapijas zāļu sakarā ir citiem Direktīvas 2001/83/EK atkāpju noteikumiem bez slimnīcu izņēmuma (jo īpaši tās 5. panta 1. punktam) un
- kāda nozīme tirdzniecības atļaujas pieteikuma sakarā ir datiem, kas iegūti, lietojot zāles saskaņā ar slimnīcu izņēmumu.

### **4.3. Regulas darbības joma un jaunieviestās terapijas zāļu klasificēšana**

#### *4.3.1. JTZ regulas darbības joma*

Par jaunieviestās terapijas zālēm uzskata triju veidu zāles: gēnu terapijas zāles, somatisko šūnu terapijas zāles un audu inženierijas produktus. Iespējams, ka zāļu piederība kādai no šīm kategorijām jāvērtē, izmantojot sarežģītus zinātniskus spriedumus. Konkrētāk, var būt sarežģīti atbildēt uz jautājumu, kādos gadījumos manipulāciju ar dzīvu materiālu uzskatīt par būtisku. Dažkārt var būt grūti atbildēt pat uz jautājumu, vai šūnas vai audi donoram un recipientam ir paredzēti vienas un tās pašas funkcijas pildīšanai (piemēram, attiecībā uz kaula smadzeņu materiālu).

Dažādo jaunieviestās terapijas zāļu kategoriju definīcijas piemērojot gūtā *CAT* pieredze liecina, ka dažos aspektos definīciju varētu vēl precizēt, lai nodrošinātu, ka juridiskās definīcijas labāk sader ar zinātnes realitāti, kas ir to pamatā.

Turklāt jaunieviestās terapijas ir lauks, kurā zinātne strauji attīstās, tāpēc gēnu terapijas, somatisko šūnu terapijas un audu inženierijas produktu definīcijas pastāvīgi jāpārskata. Rodas jaunas inovatīvas zāles, ko acīmredzot neaptver līdzšinējie noteikumi. Piemēram, izstrādājot ierīces, kas paver iespēju vienā un tajā pašā procedūrā ievākt šūnas vai audus, tos apstrādāt slēgtā vidē un ievadīt atpakaļ donoram, rodas jautājumi par šādas terapijas reglamentēšanu (jo īpaši tad, ja izmantošana nav homologa).

#### *4.3.2. Klasificēšana*

Parādās arvien vairāk inovatīvu bioloģisku produktu, uz kuriem pēc to īpašībām varētu attiecināt dažādus regulatīvos režīmus (piem., zāles, medicīniskās ierīces, kosmētika vai audi un šūnas). Lai pietiekamā līmenī panāktu sabiedrības veselības aizsardzību, ir nepieciešama skaidrība par režīmu, ko piemērot jaunajām zālēm. Turklāt izstrādātājiem vajadzīga skaidra izpratne par to, kāds tiesiskais regulējums būs attiecināms uz viņu produktiem, lai izstrādes procesu varētu pielāgot attiecīgajām prasībām.



Tomēr ir ziņots par gadījumiem, kur dalībvalstu kompetentās iestādes attiecībā uz to, vai kāds produkts būtu uzskatāms par jaunievietās terapijas zālēm, nonākušas pie atšķirīgiem slēdzieniem. Arī sabiedriskajā apspriešanā, ko Komisijas dienesti rīkoja šā ziņojuma gatavošanai, tika konstatēts, ka ES teritorijā pastāvošās atšķirības jaunievietās terapijas zāļu klasificēšanā raisa bažas.

Uz vienām un tām pašām zālēm ES teritorijā var attiecināt atšķirīgas prasības, un tas vedina uzskatīt, ka sabiedrības veselības aizsardzības līmenis atšķiras atkarībā no pacienta dzīvesvietas. Iespēja, ka vienas un tās pašas zāles var tirgot atsevišķos regulatīvos režīmos, ne vien ir nevēlama no sabiedrības veselības viedokļa, bet arī mazina jaunievietās terapijas zāļu izstrādes stimulus. Pirmkārt, nenoteiktība attiecībā uz produkta potenciālu tirgū attur investīcijas. Otrkārt, ja vienas un tās pašas zāles klasificē atšķirīgi, tas kropļo konkurenci starp izstrādātājiem. Visbeidzot, ja visā ES teritorijā piemēro atšķirīgas regulatīvās prasības, tas kavē šo zāļu brīvu apriti.

Ar JTZ regulu Aģentūrai uzticēts sniegt zinātniskos ieteikumus par jaunievieto terapiju klasificēšanu. Sniegtās konsultācijas ir bez maksas un nav saistošas.

Ir apliecinājies, ka JTZ regulā paredzētajam klasificēšanas mehānismam ir divas stiprās puses. Pirmkārt, centralizēta novērtēšana nodrošina, ka visā ES teritorijā ir vienots viedoklis un valda noteiktība. Otrkārt, pakalpojums ir bez maksas, tāpēc to tiekušies izmantot mazie uzņēmumi (sk. 3.3. sadaļu). Komisija to uzskata par pozitīvu iznākumu, jo šādā ceļā var nodrošināt, ka šādu zāļu izstrādes procesu jau no sākuma izstrādā tā, lai maksimāli palielinātu izredzes iegūt tirdzniecības atļauju.

Tomēr pašreizējam klasificēšanas mehānismam ir arī dažas vājās puses. Pirmkārt, izstrādātājs var ignorēt *CAT* secinājumu, ka produkts uzskatāms par jaunievietās terapijas zālēm, un izlemt to tirgot, neievācot datus par iedarbīgumu un drošumu un/vai neizpildot kvalitātes un farmakovigilances prasības, ko parasti izvirza zālēm. Vēl viens līdzšinējās sistēmas ierobežojums ir tāds, ka dalībvalstu kompetentajām iestādēm nav iespējas noskaidrot *CAT* uzskatus gadījumos, kur jāatbild uz jautājumu, vai zāles būtu jāuzskata par jaunievietās terapijas zālēm.

#### **4.4. Prasības attiecībā uz jaunievietās terapijas zāļu tirdzniecības atļaujām**

##### *4.4.1. Vispārīgi apsvērumi*

JTZ regula balstās uz procedūrām, jēdzieniem un prasībām, kas izstrādātas zālēm, kuru pamatā ir ķīmiskas vielas. Tomēr jaunievietās terapijas zāļu īpašības ir ļoti atšķirīgas. Turklāt pretstatā zālēm, kuru pamatā ir ķīmiskas vielas, jaunievieto terapiju pētīšana galvenokārt notiek akadēmiskajā vidē, bezpeļņas organizācijās un mazajos un vidējos uzņēmumos, kuru finansiālie resursi ir ierobežoti un kuriem bieži vien trūkst saskares ar zāļu regulatīvo sistēmu.

Komisijas Direktīvā 2009/120/EK ir paredzētas pielāgotas prasības attiecībā uz informāciju, kas kandidātiem jāsniedz, piesakoties uz jaunievietās terapijas zāļu tirdzniecības atļauju. Ir paredzēta arī iespēja kvalitātes, neklīnisko un klīnisko datu apmēra noteikšanā izmantot uz risku balstītu pieeju.

Tomēr sabiedriskā apspriešana liecina, ka daudzi uzskata, ka jo īpaši attiecībā uz kvalitāti būtu jāpiemēro papildu elastība, lai nodrošinātu, ka prasībās, ko izvirza tirdzniecības atļaujas pieteikumam, tiek pienācīgi ņemti vērā zinātnes sasniegumi un jaunievietās terapijas zāļu specifiskās īpatnības. Šim viedoklim piekrituši respondenti, kas pārstāv nozari, pacientus, slimnīcas, akadēmiskās aprindas un bezpeļņas organizācijas.

Papildus iespējamiem konkrētiem kvalitātes vai iedarbīguma/drošuma datu prasību pielāgojumiem ir ierosināts noskaidrot, vai jaunieviestajām terapijām varētu palīdzēt atsperties arī alternatīvas pieejas reglamentējošo maksu mazināšanā. Piemēram, sabiedriskajā apspriešanā vairāki respondenti ierosināja ieviest tirdzniecības atļauju, ko piešķirtu, pamatojoties uz ierobežotiem datiem, kuri būtu izmantojami ierobežotos apstākļos, jo īpaši gadījumos, kur pastāv neapmierinātas medicīniskas vajadzības. Par lietošanu ierobežotos apstākļos savāktos datus pēc tam varētu izmantot, lai tirdzniecības atļaujas tvērumu paplašinātu līdz standartatļaujai.

#### 4.4.2. *Autologas jaunieviestās terapijas zāles*

Autologo zāļu gadījumā no pacienta ievāc šūnas/audus, tos pēc tam apstrādā vai pavairo un visbeidzot ievada atpakaļ tā paša pacienta organismā. Sākmateriāls (proti, šūnas/audi) katram pacientam ir atšķirīgs, un tātad minēto zāļu ražošanas procesam salīdzinājumā ar citām zālēm piemīt specifiskas īpatnības.

Tomēr autologo zāļu ražošanā vērojamas dažādas grūtības. Tāpēc ir lietderīgi šķirt divus dažādus scenārijus. No vienas puses, autologās zāles var izgatavot, pacienta šūnas/audus nogādājot farmācijas uzņēmumā, savukārt gatavās zāles nogādājot atpakaļ slimnīcā, lai implantētu/injicētu tam pašam pacientam. Šādu autologu jaunieviestās terapijas zāļu piemēri ir *ChondroCelect*, *MACI* un *Provenge*, kam ir piešķirtas centralizētas tirdzniecības atļaujas. No otras puses, ir gadījumi, kur šūnas/audus ievada atpakaļ tam pašam pacientam, ar tiem pirms tam veicot manipulācijas slimnīcā (piem., ar šūnu separācijai un manipulēšanai izstrādātu medicīnisko ierīču palīdzību).

Sabiedriskajā apspriešanā daži respondenti uzskatīja, ka autologās jaunieviestās terapijas zāles nebūtu jāreglamentē kā zāles. Tāda pieeja mazinātu ar šo produktu izmantošanu saistītās izstrādes izmaksas, tomēr Komisija uzskata, ka vajadzībai pēc pietiekama līmeņa sabiedrības veselības aizsardzībā vajadzētu būt stiprākai par ekonomiskiem apsvērumiem.

Minētos produktus reglamentējot kā zāles, tiek nodrošināts, ka neatkarīga un augsti specializēta organizācija tām piemētošo riska un ieguvuma attiecību ir atzinusi par pozitīvu, ka pacienti pēc terapijas tiek apsekoti un ka veselības aprūpes speciālisti var noskaidrot terapijas ilglaicīgo ietekmi (ne vien attiecībā uz drošumu, bet arī attiecībā uz iedarbīgumu).

Tomēr ir svarīgi, lai autologajām zālēm izvirzītās prasības būtu samērīgas un pielāgotas to specifiskajām īpatnībām. Prasot, lai slimnīcā izgatavotās autologās zāles pirms ievadīšanas pacientam atbilstu tādām kvalitātes kontroles un ražošanas prasībām, ko izvirza standartzālēm, kuru pamatā ir ķīmiskas vielas, tiktu kavēta šo terapiju praktiskā attīstība, jo attiecībā uz katru lietošanas reizi visai sērijai būtu nepieciešams sertifikāts un slimnīcai – ražošanas licence.

#### 4.4.3. *Kombinētās jaunieviestās terapijas zāles*

Kombinētās jaunieviestās terapijas zāles ir jaunieviestās terapijas zāles, kuras satur dzīvotspējīgas šūnas vai audus un kurās kā neatņemama produkta daļa ir iestrādāta viena vai vairākas medicīniskas ierīces. Ja primāra ir nevis ierīces, bet gan šūnu/audu iedarbība uz cilvēka ķermeni, par kombinētām jaunieviestās terapijas zālēm uzskatāmas arī jaunieviestās terapijas zāles, kurās ir iestrādāta ierīce, bet kuras satur dzīvotnespējīgas šūnas vai audus.

Saskaņā ar spēkā esošajiem noteikumiem kombinēto jaunieviestās terapijas zāļu galīgo zinātnisko novērtēšanu veic *CAT*. Tomēr attiecībā uz ierīcēm Aģentūrai

jāpaļaujas uz pilnvaroto iestāžu novērtējumu (ja tāds ir pieejams). Ja novērtējums no pilnvarotajām iestādēm nav pieejams, principā Aģentūrai ar vienu no iestādēm jāapspriežas, ja vien *CAT* neuzskata, ka tas nav nepieciešams.

Sabiedriskā apspriešana parādīja, ka daudzi par pārmērīgu slogu uzskata medicīniskās ierīces un zāļu atsevišķo vērtēšanu gadījumos, kur ierīci netirgo atsevišķi. Tādējādi attiecībā uz tādām jaunievietās terapijas zālēm, kur ierīce zālēs ietilpst kā neatņemama daļa (t.i., attiecībā uz visām kombinētajām jaunievietās terapijas zālēm), spēcīgu atbalstu guva princips par vienotu novērtējumu, ko izpildītu *CAT*. Turklāt sabiedriskā apspriešana liecināja, ka Aģentūras un pilnvaroto iestāžu praktiskā mijiedarbība ieinteresētajām personām ir grūti saprotama.

Ir apzināts arī tāds risks, ka līdzšinējais regulējums stimulē izstrādātājus (pat tādām lietojumam, kas atšķiras no kombinētajās jaunievietās terapijas zālēs paredzētā lietojuma) izmantot jau licencētas medicīniskas ierīces, nevis izstrādāt jaunas piemērotākas ierīces. Uz šādu rīcību var vedināt iespaids, ka, izvēloties ar CE marķējumu marķētu ierīci, tiks atvieglota regulatīvā procedūra.

#### 4.5. Tirdzniecības atļaujas procedūra

JTZ regula prasa, lai pieteikumi attiecībā uz jaunievietām terapijām paredzētām tirdzniecības atļaujām tiktu iesniegti Aģentūrai. To zinātniskajā novērtēšanā ir iesaistītas līdz piecām komitejām. Konkrētāk:

- i) *CAT* novērtē tirdzniecības atļaujas pieteikumu un iesniedz savu atzinumu Cilvēkiem paredzēto zāļu komitejā ("*CHMP*");
- ii) *CHMP* pieņem atzinumu, ko nodod Komisijai;
- iii) Farmakovigilances riska vērtēšanas ("*PRAC*") komiteja sniedz ieteikumus *CHMP* par farmakovigilances lietām;
- iv) Pediatrijas komiteja ("*PDCO*") iesaistās aspektos, kas saistīti ar pienākumiem, kurus uzliek Eiropas Parlamenta un Padomes Regula (EK) Nr. 1901/2006<sup>18</sup>; un
- v) Reti sastopamu slimību ārstēšanas zāļu komiteja ("*COMP*") Komisijai sniedz zinātniskus atzinumus aspektos, kas saistīti ar tādu stimulu piemērošanu, ko izmanto attiecībā uz zālēm reti sastopamu slimību ārstēšanai (tāpēc šī komiteja iesaistās tikai tad, ja pieteikuma iesniedzējs kandidē uz reti sastopamu slimību ārstēšanas zāļu statusu).

Izrādījies, ka spēkā esošā tirdzniecības atļauju procedūra praksē ir grūti pārvaldāma un arī sarežģīta iespējamiem pieteikumu iesniedzējiem, kas parasti ir subjekti, kuri ar centralizēto tirdzniecības atļauju procedūru nav saskārušies. Šajā ziņā sabiedriskā apspriešana apliecināja, ka Aģentūras veiktā jaunievietās terapijas zāļu izvērtēšanas procedūra tiek uzskatīta par pārāk apgrūtinošu, jo īpaši MVU un bezpeļņas organizācijām.

Kopš JTZ regulas spēkā stāšanās gūtā pieredze visā visumā liecina, ka jaunievietās terapijas zāļu izvērtēšanas procedūru iespējams racionalizēt. Tas ne vien būtu izdevīgi iespējamiem pieteikumu iesniedzējiem, bet arī nodrošinātu, ka šis sarežģītās zāles tiek vērtētas uzticamā veidā, un Aģentūrā būtu nepārprotami sadalīta atbildība par šo uzdevumu.

<sup>18</sup> Eiropas Parlamenta un Padomes Regula (EK) Nr. 1901/2006 par pediatrijā lietojamām zālēm un par grozījumiem Regulā (EEK) Nr. 1768/92, Direktīvā 2001/20/EK, Direktīvā 2001/83/EK un Regulā (EK) Nr. 726/2004 (OV L 378, 27.12.2006., 1. lpp.).

#### 4.6. **Sertificēšana**

Aģentūrai uzticētā kvalitātes un neklīnisko datu sertificēšana bija jauns instruments, ko izstrādāja, lai mazajiem un vidējiem uzņēmumiem palīdzētu piesaistīt investīcijas/ gūt ienākumus jaunievietās terapijas zāļu izstrādei. Analogiski samazinājumiem, kas piemēroti attiecībā uz zinātniskām konsultācijām, Aģentūra MVU iesniegtajiem sertificēšanas pieprasījumiem piemēroja maksas samazināšanu par 90 %<sup>19</sup>.

Tomēr iznākums rada vilšanos, jo sertificēšanas pieteikumu saņemts ļoti maz. Ka sertificēšanas procedūru lieto maz, daļēji izskaidrojams ar to, ka no sertifikācijas shēmas ir izslēgti nekomerciāli subjekti. Tātad šā instrumenta vērtību varētu vairot, paplašinot kategorijas, kas varētu pieteikties uz sertificēšanu.

Turklāt sabiedriskās apspriešanas iznākums un EMA īstenotā aptauja<sup>20</sup> liecina, ka sertifikāciju varētu padarīt vērtīgāku, ieviešot dažas izmaiņas, piemēram, precizējot saikni starp sertificēšanu un tirdzniecības atļaujas procedūru vai paplašinot sertifikācijas shēmu tā, lai tā aptvertu vēl citas došjē daļas (piem., klīniskos jautājumus).

#### 4.7. **Zinātniskās konsultācijas**

Ir svarīgi, lai jaunievietās terapijas zāļu izstrādātāji un iestādes kontaktētos jau no sākuma, jo tas nodrošinātu, ka izstrādes darbu plāno iespējami kvalitatīvi, iespējami palielinot izredzes, ka tirdzniecības atļauja tiks piešķirta. Izstrādātājiem, kas tirdzniecības atļaujas procedūras nepārzina, ir īpaši svarīgi jau izstrādes sākumposmā izprast, kādas prasības jāapmierina, lai varētu pierādītu zāļu iedarbīgumu un drošumu.

Lai jaunievietās terapijas zāļu izstrādātājiem būtu stimuls zāļu izstrādi apspriest ar Aģentūru, jaunievietās terapijas zāļu regula paredzēja būtiski samazināt zinātnisku konsultāciju pieprasījumiem piemēroto maksu. MVU bija paredzēta līdz 90 % atlaide.

Ir pozitīvi, ka šajā ziņojumā aplūkotajā pārskata periodā Aģentūra ir saņēmusi daudzus pieprasījumus pēc zinātniskām konsultācijām, un šis pavērsiens var sekmēt jaunu zāļu rašanos pētniecības darba iznākumā. Īpaši būtiski, ka lielāko daļu pieprasījumu pēc zinātniskām konsultācijām ir izteikuši MVU (sk. 3.5. sadaļu). Tātad MVU piemērotā lielā atlaide ir izrādījusies iedarbīga.

Savukārt sabiedriskajā apspriešanā par trūkumu atzīts, ka dalība maksu stimulu shēmā ir liegta vairākām bezpeļņas organizācijām. Akadēmiskās aprindas pieprasījušas zinātniskas konsultācijas nelielā apmērā (6 %), un tas vedina domāt, ka akadēmiskajā vidē (vai citos bezpeļņas apstākļos) strādājošus pētniekus maksu samazināšana analogiski tam, kā maksas samazinātas mazajiem un vidējiem uzņēmumiem, varētu rosināt tos vērsties Aģentūrā pēc zinātniskām konsultācijām.

#### 4.8. **Maksu stimuli attiecībā uz tirdzniecības atļaujas pieteikumiem un saistībām pēc laišanas tirgū.**

Kas attiecas uz sabiedrības veselībai nozīmīgām jaunievietās terapijas zālēm, mazajiem un vidējiem uzņēmumiem un slimnīcām par 50 % samazināja maksas, kas

<sup>19</sup>

[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2013/07/WC500146978.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2013/07/WC500146978.pdf)

<sup>20</sup>

[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2013/02/WC500138476.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2013/02/WC500138476.pdf)

saistītas ar tirdzniecības atļaujas pieteikumu un darbībām pēc laišanas tirgū. Tomēr šie maksu samazinājumi tika piemēroti ierobežotu laiku un vairs nav spēkā.

Par minēto maksu stimulu ietekmi ir grūti izdarīt vispārīgus secinājumus, jo, kamēr tie bija spēkā, piešķirtas tikai divas tirdzniecības atļaujas. Tomēr izmaksas sakarā ar pasākumiem pēc laišanas tirgū vispār var būt ļoti lielas, jo īpaši tad, ja pēc laišanas tirgū tiek noteikti daudzi pienākumi. Iespējams, ka mazi uzņēmumi šīs izmaksas nespēj atļauties, jo īpaši līdz brīdim, kad no zālēm var gūt ienākumus (t. i., līdz brīdim, kad par atmaksāšanas procedūrām kompetentās dalībvalstu iestādes sniedz piekrišanu).

## 5. SECINĀJUMI

Jaunievietās terapijas pacientiem var sniegt lielu labumu. Tomēr ir vēl pārāk daudz nezināmo, tāpēc ir svarīgi ieviest pietiekamus kontroles mehānismus, kas novērstu nelabvēlīgas sekas attiecībā uz sabiedrības veselību.

JTZ regula aizsargā pacientus, pieprasot, lai, pirms jaunievietās terapijas zāles tiek darītas pieejamas pacientiem, tās saskaņā ar augstiem kvalitātes, iedarbīguma un drošuma standartiem neatkarīgi vērtētu labākie pieejamie ES eksperti.

Tomēr pārāk apgrūtināšas prasības var negatīvi ietekmēt sabiedrības veselību, kavējot derīgu terapiju pieejamību neapmierinātām medicīniskām vajadzībām. Reglamentējot šo jomu, būtu jārada jaunu zāļu radīšanai labvēlīgi apstākļi, vienlaikus augstā līmenī nodrošinot sabiedrības veselības aizsardzību. Tāpat ir svarīgi, lai tiesiskais regulējums būtu pielāgots straujajam zinātnes progresam.

Pamatojoties uz pieredzi, kas apkopota kopš JTZ regulas stāšanās spēkā, iespējams apzināt vairākus risinājumus, kas varētu sekmēt pētnieku darba pārtapšanu pacientiem visā ES teritorijā pieejamās jaunievietās terapijas zālēs, vienlaikus augstā līmenī uzturot sabiedrības veselības aizsardzību, un risinājumu vidū ir:

- noskaidrot JTZ regulas darbības jomu, precizējot līdzšinējās JTZ definīcijas un pārdomājot, kādi jauni inovatīviem ražojumiem vajadzīgi tiesiskā regulējuma elementu spēkā esošajās normās neietilpst;
- apsvērt, ar kādiem pasākumiem Eiropas Savienībā novērst jaunievietās terapijas zāļu klasificēšanas atšķirības;
- precizēt nosacījumus, ar kādiem piemēro slimnīcu izņēmumu, kā arī to, kāda ir šā izņēmuma piemērošanā gūto datu nozīme attiecībā uz tirdzniecības atļauju procedūrām;
- pārskatīt prasības, ko attiecina uz jaunievietās terapijas zāļu atļaujām, lai nodrošinātu, ka piemērojamās prasības ir samērīgas un pielāgotas šo zāļu specifiskajām īpatnībām, jo īpaši attiecībā uz autologajām zālēm;
- racionalizēt tirdzniecības atļauju piešķiršanas procedūras;
- plašāk attiecināt sertifikācijas procedūru un precizēt sasaisti starp sertifikāciju un tirdzniecības atļauju procedūru;
- radīt labvēlīgāku vidi akadēmiskajā vidē vai bezpeļņas apstākļos strādājošiem jaunievietās terapijas zāļu izstrādātājiem, arī atbalstot to agrīnus kontaktus ar iestādēm tādā ceļā, ka par zinātniskām konsultācijām tiek piemērota samazināta maksa un sertifikācijas shēma tiek attiecināta arī uz šiem izstrādātājiem;

- apsvērt, ar kādiem maksu stimuliem var mazināt pēc zāļu laišanas tirgū pildāmo saistību finansiālās sekas.