



Förordning om läkemedel avsedda för barn

Socialdepartementet

2004-12-22

Dokumentbeteckning

13880/04 KOM(2004) 599 slutlig

Europaparlamentets och rådets förordning om läkemedel för pediatrik användning och om ändring av rådets förordning (EEG) nr 1768/92, direktiv 2001/83/EG och förordning (EG) nr 726/2004

Sammanfattning

Mer än 50 % av de läkemedel som används för behandling av barn i Europa har inte testats eller godkänts för användning på barn utan är utprovade på vuxna. Hälsan och därmed livskvaliteten för Europas barn kan därför bli lidande.

Förslaget till förordning syftar till att påskynda utvecklingen av nya läkemedel avsedda för behandling av barn, att säkerställa att dessa håller hög kvalitet, är föremål för etisk forskning och på ett lämpligt sätt godkänns för användning på barn. Dessa mål bör uppnås utan att godkännandet av läkemedel för andra målgrupper fördröjs. Den syftar även till att öka kunskapen och informationen om redan godkända läkemedel rörande användningen i olika pediatrika populationer samt stimulera till utveckling av beredningsformer anpassade till barn.

De krav som förordningen ställer på prövningar i den pediatrika befolkningsgruppen är kopplade till den redan befintliga lagstiftningen om förfaranden för godkännande för försäljning av läkemedel. Ett nytt krav på att resultaten av studier som utförts i enlighet med ett godtagat s.k. pediatrikt prövningsprogram skall läggas fram i samband med ansökan om godkännande, om inte ett undantag eller uppskov har beviljats, föreslås.

Flera åtgärder föreslås som skall kompensera för bl.a. de ökade kostnaderna som förslaget innebär, t.ex. förlängning av giltighetstiden för tilläggsskyddet, en ny typ av godkännande för försäljning gällande icke

Förslaget innebär alltså såväl stimulansåtgärder för läkemedelsindustrin i form av förlängning av exklusivitet i de fall där ett nytt läkemedel utvecklats eller ny kunskap vunnits för en pediatrik population men också krav på utveckling av läkemedel till barn samtidigt eller i nära anslutning till utveckling av läkemedel till vuxna.

En vetenskaplig kommitté, Pediatrika kommittén, föreslås bli inrättad inom den europeiska läkemedelsmyndigheten EMEA i London. Dess främsta uppgift skall vara att bedöma läkemedelsföretagens planer för utveckling av läkemedel till barn, att dessa planer har fullföljts, samt ta ställning till om läkemedelsutveckling kan senareläggas eller helt kan avstås ifrån. Kostnadsfri vetenskaplig rådgivning till läkemedelsföretagen erbjuds.

I förordningsförslaget anges att Kommissionen skall utreda möjligheterna för att genom en speciell fond, "Medicines Investigation for the Children of Europe" (MICE) stimulera till högkvalitativ forskning som syftar till utveckling av läkemedel till barn för de läkemedel som ej täcks av patent eller exklusivitetsskydd.

Informationen om pågående och avslutade pediatrika studier såväl inom som utom EU genom registrering i en databas (EudraCT) föreslås liksom en inventering av tillgängliga barnläkemedel i Europa.där de terapeutiska behoven skall beskrivas

1 Förslaget

1.1 Innehåll

Mer än 50 % av läkemedel som används av barn har inte testats eller godkänts för användning på barn. Till de problem som uppstått till följd av frånvaron av läkemedel som på ett lämpligt sätt har anpassats för barn hör otillräckliga doseringsinstruktioner som leder till ökad risk för biverkningar, där det kan röra sig om allt från att barnet avlider till att behandlingen blir ineffektiv till följd av underdosering, att barnet inte kan tillgodogöra sig de terapeutiska fördelarna och att man vid behandling av barn använder sig av ex tempore-beredningar som kanske är av dålig kvalitet. Det är mot denna bakgrund förordningsförslaget läggs fram. Förslaget tar också sikte på en fungerande inre marknad, dvs en harmonisering i syfte att skapa en effektiv gemensam marknad för europeiska läkemedelsbolag.

De förfaranden som föreskrivs i den befintliga lagstiftningen om läkemedel ändras inte genom förslaget. Av kravet på att resultaten av studier på barn bör läggas fram i enlighet med ett godtagbart pediatrikt prövningsprogram följer emellertid att de behöriga myndigheterna bör kontrollera att det pediatrika prövningsprogrammet följs och vilka undantag och uppskov som

beviljats i det aktuella skedet av giltighetsprövningen för ansökan om godkännande för försäljning.

Bedömningen av säkerhet, kvalitet och effekt hos läkemedel för barn och beviljandet av godkännanden för försäljning kommer fortfarande att ligga hos de behöriga myndigheterna.

Den pediatrika populationen definieras som den del av befolkningen som är mellan 0 och 18 år.

Med pediatrikt prövningsprogram menas: ett forsknings- och utvecklingsprogram som syftar till att säkerställa att nödvändiga uppgifter fås fram för att fastställa villkoren för att ett läkemedel skall godkännas för behandling av den pediatrika populationen.

Med ett läkemedel som godkänts med en pediatrik indikation skall menas ett läkemedel som är godkänt för användning i en del eller hela den pediatrika populationen och för vilken detta finns dokumenterat i den sammanfattning av produktens egenskaper som sammanställts i enlighet med artikel 11 i direktiv 2201/83/EG.

En pediatrik vetenskaplig kommitté förslås bli inrättad vid Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Den skall bedöma innehållet i de pediatrika prövningsprogrammen och yttra sig om dessa, bedöma om en ansökan om godkännande överensstämmer med prövningsprogrammet och yttra sig om läkemedlets kvalitet, säkerhet och effekt vid användning i den pediatrika populationen m.m.

Som en kompensation för de ökade kostnader m.m. som de föreslagna åtgärderna innebär föreslås beträffande nya läkemedel som omfattas av ett patent eller ett tilläggsskydd att en förlängning med sex månader av skyddsperioden medges. Detta under förutsättning att alla åtaganden som ingår i det godtagna pediatrika prövningsprogrammet har uppfyllts, att produkten är godkänd i samtliga medlemsstater och att relevanta uppgifter om resultaten av studierna ingår i produktinformationen. Ett uttalande om att dessa åtaganden har uppfyllts införs i godkännandet för försäljning. Företagen kan sedan lägga fram godkännandet för försäljning för de nationella patentmyndigheterna, som då beviljar dem en förlängning av tilläggsskyddet

Enligt Europaparlamentet och rådets förordning (EG) nr 141/2000 av den 16 december 1999 om särlekemedel har särlekemedel ensamrätt på marknaden under tio år efter det att de har meddelats godkännande för försäljning med en behandlingsindikation för sällsynta sjukdomar. Då sådana läkemedel ofta inte är patentskyddade kan den belöning som består i en förlängning av tilläggsskyddet inte användas. Det föreslås i stället att tioårsperioden med ensamrätt på marknaden för särlekemedel förlängs till tolv år, om kraven på uppgifter om användning vid behandling av barn är uppfyllda i sin helhet.

Som ett redskap för att få fram incitament för icke-patentskyddade läkemedel förslås en ny typ av godkännande för försäljning, ett godkännande för

försäljning för pediatrik användning (PUMA). För ett sådant pediatrikt godkännande kan de befintliga förfarandena för godkännande för försäljning utnyttjas, men det avser specifikt läkemedel som utvecklats uteslutande för behandling av barn. PUMA innebär att den information som getts in i anledning av godkännandet för försäljning omfattas av ett s.k. uppgiftsskydd under viss tid och därför inte kan användas till stöd för någon annan som ansöker om godkännande för försäljning.

Förfaranden för godkännande försäljning av läkemedel för pediatrik användning och uppföljningen av dessa skall i huvudsak tillämpas i enlighet med förordningen (EG) nr 726/2004 eller direktivet 2001/83/EG men vissa justeringar i reglerna föreslås. Bl.a. införs ett system för vetenskaplig rådgivning, som EMEA skall stå för utan kostnad för industrin.

1.2 Gällande svenska regler och förslagets effekt på dessa

Läkemedelslagen (1992:859)

Läkemedelsförordningen (1992:1752)

Läkemedelsverkets föreskrifter

1.3 Budgetära konsekvenser

Den finansiering som gemenskapen står för bör täcka alla aspekter av Pediatrika kommitténs och myndighetens arbete i samband med tillämpningen av förordningen, bland annat bedömningen av pediatrika prövningsprogram, avgiftsfrihet vid vetenskaplig rådgivning och åtgärder som avser information och öppenhet, däribland databasen över pediatrika studier och nätverket. Kommissionen har beräknat kostnaderna för förslaget till drygt €21 miljoner för perioden 2007-2012.

Deltagande i den vetenskapliga kommittén från Läkemedelsverkets sida kan uppskattas till ca 500 000 kronor per år.

Ökade kostnader för industrin kompenseras på olika sätt, framförallt genom en förlängning av skyddsperioden samt genom avgiftsnedsättningar vid ansökningar av PUMA.

2 Ståndpunkter

2.1 Svensk ståndpunkt

Sverige välkomnar förslaget. Förslaget innehåller stimulansåtgärder för industrin samtidigt som man skapat ett system som möjliggör för myndigheterna att senarelägga och avböja utveckling av läkemedel där ytterligare erfarenhet från vuxna krävs eller där behov av läkemedel i barnpopulationen saknas. Det finns vägledande dokument sedan tidigare, t.ex. Internationella harmoniseringskonferensens (ICH) riktlinje E11 rörande

läkemedelsutveckling hos barn och det är bra att rekommendationerna omsätts i harmoniserad lagstiftning inom EU.

2004/05:FPM41

På nationell nivå bör insatser göras för att stimulera uppbyggande av kliniska prövningscentra med samlad kompetens rörande klinisk läkemedelsprövning på barn.

2.2 Medlemsstaternas ståndpunkter

Medlemsstaterna är positiva till förslaget i stort. Mer detaljerade ståndpunkter är ännu inte kända.

2.3 Institutionernas ståndpunkter

Institutionernas ståndpunkt är ännu inte känd.

2.4 Remissinstansernas ståndpunkter

Förslaget har remissbehandlats. Bl.a. Läkemedelsverket, Socialstyrelsen, SBU, Svenska Kommunförbundet och Landstingsförbundet, Uppsala Universitet, Apoteket AB, Läkemedelsindustriföreningen, Föreningen för Generiska läkemedel, Farmaciförbundet och KILEN ställer sig i huvudsak positiva till förslaget. Ingen instans har tagit avstånd från förslaget

3 Övrigt

3.1 Fortsatt behandling av ärendet

Förslaget bereds i rådets arbetsgrupp om läkemedel. Arbetet beräknas pågå under hela 2005

3.2 Rättslig grund och beslutsförfarande

Artikel 95 i fördraget

3.3 Fackuttryck/termer

Generiskt läkemedel

Kopia av ett originalläkemedel

Särläkemedel

Läkemedel som godkänns för en liten population patienter

MICE

Medicines Investigation for the Children of Europe

Ex tempore-beredningar

Pediatriskt prövningsprogram

Ett forsknings- och utvecklingsprogram som syftar till att säkerställa att nödvändiga uppgifter fås fram för att fastställa villkoren för att ett läkemedel skall godkännas för behandling av den pediatrika populationen.

Indikation

Användning vid visst symtom

Skyddsperioden

Skyddet för data som avser prekliniska studier och kliniska prövningar gäller under åtta år efter det ursprungliga godkännandet av ett läkemedel. Efter tio år kan en kopia av läkemedlet släppas ut på marknaden. Skyddsperioden kan i vissa fall förlängas till elva år.

Tillägsskyddsperiod

Skyddsperioden kan i vissa fall förlängas till elva år

PUMA

Märkning - Godkännandet för försäljning för pediatrik användning.

ICH

Internationella harmoniseringskonferensen.