

JUHA KOLEHMAINEN
LT
Ylilääkäri, Fimea

PEKKA KURKI
LKT
Tutkimusprofessori, Fimea

VIRANOMAISNEUVONTA VOI PARANTAA lääkekehitys- projektin ennustetta

Euroopan lääkevirasto EMA ja kansalliset lääkevirastot antavat tieteellistä neuvontaa lääkekehityspulmiin. Tieteellinen neuvonta näyttää parantavan lääkekehitysprojektien ennustetta. Aloitteleville ja pienille yrityksille on kehitetty erityisneuvontaa, jota Suomessa edustaa Fimean lääkeneuvola.

Lääkevalvontaviranomaiset antavat päivittäin normaalin asiakaspalveluna neuvoja lääkevalvonnan hallinnollisissa asioissa. Tieteellinen neuvonta on tärkein lääkekehityksen tukimuoto (Kurki 2011). Sen lisäksi tarjotaan pienille yrityksille räätälöityä neuvontaa.

Euroopan lääkeviraston EMAssa (European Medicines Agency) pienille ja keskisuurille yrityksille tarkoitettu Micro-, small- and medium-sized-enterprise office (SME office) antaa neuvoja lääkekehityksen tukimuodoista. Niin sanottu Innovation Task Force (ITF) puolestaan ottaa vastaan yrityksiä ja muita innovatiivista lääkekehitystä harjoittavia ryhmiä kertoakseen regulatorisista vaatimuksista, mukaan lukien tuotteen luokittelusta joko lääkkeeksi tai muuksi tuotteeksi. Lisäksi EMA tarjoaa solu- ja geeniterapioita sekä kudosuokkaustuotteita kehittäville organisaatioille mahdollisuuden sertifioida tehtyjä farmaseuttisia ja ei-kliinisiä tutkimuksia ennen myyntilupahakemuksen jättämistä.

Kansallisten virastojen tukipalvelut ovat suppeampia. Useat virastot tarjoavat tieteellistä neuvontaa, ja jotkut

virastot antavat myös pienille yrityksille tarkoitettua regulatoris-tieteellistä neuvontaa. Fimeassa toimii pienille yrityksille tarkoitettu lääkeneuvola.

Mitä tieteellinen neuvonta on?

Sekä EMAn että kansallisten viranomaisten tieteellinen neuvonta toimii siten, että yritys voi esittää kysymyksiä lääkekehitysprosessin eri osa-alueista (laatu, ei-kliiniset tai kliiniset tutkimukset) missä tahansa lääkekehityksen vaiheessa. Tieteellinen neuvonta on aiheellista silloin, kun olemassa olevat ohjeistot eivät kata esiin tullutta ongelmaa tai lääkeyritys haluaa poiketa ohjeistoista.

EMAn lääkevalmistekomitean antama tieteellinen neuvonta

EMAn lääkevalmistekomitean (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP; "ihmislääkekomitea") alaisuudessa toimii tieteellisen neuvonnan työryhmä (Scientific Advice Working Party, SAWP), joka antaa keskitettyä tieteellistä neuvontaa. Harvinaistautien

lääkkeille annettava tieteellinen neuvonta (ns. protocol assistance) käsittää näitä lääkkeitä koskevat erityisky-symykset, kuten merkittävän hyödyn osoittaminen ole-massa olevaan hoitoon verrattuna. Tieteellisen neuvon-nan työryhmä voi antaa ei-tuotekohtaista neuvoa myös uusien menetelmien käytöstä lääkekehityksessä.

EMA osallistuu myös rinnakkaiseen tieteelliseen neu-vontaan, jossa toisena neuvojana voi olla esimerkiksi Yhdysvaltojen lääkeviranomaisen FDA (Food and Drug Administration) tai eurooppalainen terveystaloudellisia selvityksiä (Health Technology Assessment, HTA) tekevä organisaatio. SAWP antaa neuvoja erityisesti immunote-rapian ja syövänhoidon sekä mikrobi-, keskushermosto- ja ruoansulatuskanavan lääkkeiden alueilla.

Uuden innovatiiviset lääkkeet hyväksytetään keskite-tyssä myyntilupamenettelyssä. Näyttää siltä, että myynti-lupia myönnetään suuremmalla todennäköisyydellä val-misteille, joiden kehitysohjelmassa oli huomioitu annettu tieteellinen neuvonta (Regnström ym. 2010).

Kansallinen tieteellinen neuvonta on rennompaa

Fimean tieteellisen neuvonnan prosessi on kevyt ja sallii yrityksen ja regulaattoreiden vuoropuhelun. Itse asiassa Fimean antama tieteellinen neuvonta voi toimia pon-nahduslautana EMAn virallisempaan ja raskaampaan neuvontaan. Kansallista neuvontaa haetaan useimmin lääketutkimuksen alkuvaiheessa, rinnakkaislääkkeitä ke-hitettäessä sekä vanhojen lääkkeiden turvallisuuteen liit-tyvissä kysymyksissä.



Fimean lääkeneuvola huolehtii nuorten lääkekehitysohjelmien hyvinvoinnista

EMAn ja kansallisten viranomaisten tieteellinen neuvon-ta ei ole riittävästi tavoittanut kaikkein pienimpiä lääke-kehitysyhtiä, akateemis- ja sairaalalähtöisistä ryhmis-tä puhumattakaan. Näillä yrityksillä ei ehkä ole riittävästi tieteellisessä neuvonnassa vaadittavaa kokemusta.

Paikallisia yrityksiä varten Fimeassa toimii lääkeneu-vola, joka ei vaadi kummaltakaan osapuolelta laajoja etukäteisvalmisteluita. Neuvolatapaaminen on epävi-rallinen keskustelu, jossa lääkkeen kehittelijä esittelee projektinsa nykytilaa ja regulaattorit kysyvät ja kom-mentoivat. Lääkeyritykset ovat olleet tyytyväisiä neuvo-lakäynteihinsä ja arvelevat tapaamisen antaneen aihetta kehitysuunnitelman tarkistamiseen (Nurminen 2014).

Päätelmät

Sekä kansallisten viranomaisten että EMAn tieteellinen neuvonta on vakiinnuttanut asemansa. Neuvonnan mer-kitys kasvaa lääkehoidon siirtyessä uusille alueille, kuten kudostuokkaukseen, solu- ja geeniterapiaan sekä hen-kilöistettyyn lääkehoitoon.

Pienten lääkekehitysyrietysten saaminen viranomais-ohjauksen piiriin jo kehitystyön varhaisessa vaiheessa edistää tuloksellista lääkeaihion jatkokehittelyä. Siten pohjustetaan myös turvallisempien sekä tehokkaampien hoitovaihtoehtojen saatavuutta.

Fimean aloittama lääkeneuvolatoiminta on lähentä-nyt lääkekehittelijöitä ja lääkevalvontaviranomaisia sekä julkisia lääkekehityksen rahoittajia, joihin kuuluu esimer-kiksi Innovaatorahoituskeskus Tekes. Tämä on myös terveysalan tutkimus- ja innovaatiotoiminnan kasvustrate-gian mukainen suuntaus (ks. Alkio, tässä numerossa). ■

Kirjallisuutta

Kurki P. Viranomaiset ja lääkkeen saatavuuden pullonkaulat. *Sic!* 2011; 1(2): 4–9.

Nurminen H. Miten lääkeneuvola täydentää tieteellistä neuvontaa lääkekehityksen tukena. Pro gradu -tutkielma. Aalto-yliopisto 2014.

Regnström J, ym. Factors associated with success of marketing authorisation applications for pharmaceutical drugs submitted to the European Medicines Agency. *Eur J Clin Pharmacol* 2010; 66(1): 39–48.