



Lapsillemme tehokkaita ja turvallisia lääkkeitä

ELINA HANNUKSELA, Head of Regulatory Affairs, AstraZeneca Oy

Lapsia on kautta aikojen hoidettu lääkkeillä - tosin aivan liian usein aikuisille tarkoitetuilla valmisteilla. On arvioitu, että yli 50 % lapsille käytetyistä lääkkeistä on sellaisia, joiden tehoa ja turvallisuutta ei ole osoitettu lapsilla. Ei siis ole yllätys, että mittavaan myyntiluvasta poikkeavaan eli ns. off-label-käyttöön on haluttu puuttua. Vuoden 2007 alussa Euroopan unionissa (EU) astui voimaan asiaa säätelevä asetus.

Mikä kaiken taustalla?

Lääkkeitä ei ole tutkittu riittävästi lapsilla, sillä myyntiluvan myöntämiseen on riittänyt aikuisilla osoitettu laatu, teho ja turvallisuus. Tämä on aiheuttanut lasten lääkeshoidossa monenlaisia lääketurvallisuuteen tai hoidon tehoon liittyviä ongelmia, kun tiedon puuttuessa on käytetty liian pieniä annoksia. Ongelmaan piti puuttua, siitä olivat yhtä mieltä sekä päättäjät että tutkiva lääketeollisuus. Vuonna 2000 EU:n ministerineuvosto käynnisti lastenlääkeasetuksen valmistelun. Prosessi oli pitkä ja vasta tammikuussa 2007 Euroopan parlamentin ja neuvoston (EY) lastenlääkeasetus (N:o 1901/2006) ja sen muutos (N:o 1902/2006) astuivat voimaan EU:ssa.

Mitä tarkoittaa käytännössä?

Asetus toi mukanaan useita uusia velvoitteita sekä tutkivalle lääketeollisuudelle että lääkevalvontaviranomaisille. Oleellisin asia uudessa lainsäädännössä on lastenlääketutkimusohjelman (Paediatric Investigational Plan, PIP) laatiminen uuden tuotteen elinkaaren alkuvaiheessa eli yleensä faasin I jälkeen aikuisten farmakokineettisten tutkimusten valmistuttua.

Kesästä 2008 alkaen jokaisessa uudessa myyntilupahakemuksessa on oltava edellä mainittu tutkimusohjelma. Kyseessä ei ole mikään tahansa dokumentti, vaan Euroopan lääkearviointivirastoon (EMA, <http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/introduction.htm>) perustetun lastenlääkekomitean (Paediatric Committee) hyväksymä yksityiskohtainen suunnitelma siitä, miten lääkkeen laatu, teho ja turvallisuus eri ikäryhmissä tutkitaan.

Komiteassa on jäsen jokaisesta jäsenvaltiosta. Suomen edustajana toimii Pirjo Laitinen-Parkkonen Lääkelaitoksesta. Lisäksi komiteassa ovat edustettuina terveydenhuollon ammattilaisten sekä potilasjärjestöjen edustajat.

Asetuksen mukaan EMA on velvoitettu muodostamaan ns. eurooppalaisen tutkimusverkoston, joka kokoaa yhteen lapsia tutkivat asiantuntijat eri jäsenvaltioista. Suomessa perustettiin vuoden 2007 alussa kansallinen, yliopistosairaaloiden yhteishankkeena rakennettu lastenlääkkeiden tutkimusverkosto, FINPEDMED (Finnish Investigators Network for Pediatric Medicines), joka on osa eurooppalaista tutkimusverkostoa. Siitä löytyy lisätietoja osoitteesta www.hyksinstituutti.fi.

Tutkimuksiin liittyvät kannustimet

Lääketutkimustoiminta on mahdollista, jos kannustimet siihen ovat riittävät. Lastenlääkeasetuksen mukaan kannustimia myönnetään sen mukaan, onko kyseessä patenttisuojan piiriin kuuluva valmiste vai ei.

Patenttisuojan alaisten lääkkeiden patentille on tietyin edellytyksin mahdollista saada kuuden kuukauden pidennys. Patenttisuojan ulkopuolella olevien vanhojen lääkkeiden osalta on mahdollista saada erityinen suoja, jos markkinoille tuodaan uusi, nimenomaan lapsille kehitetty valmistemuoto (Paediatric Use Marketing Authorisation, PUMA).

Teollisuuden näkökulma

Tutkiva lääketeollisuus on ollut aktiivisesti mukana asetuksen valmistelussa ja toteutuksessa. Tärkeätä on se, että lapsilla tehdään vain niitä tutkimuksia, jotka todella ovat välttämättömiä. Toisaalta on ollut huolestuneisuutta siitä, toteutuvatko kaikki tavoitteet, mm. se, ettei uuden lääkkeen pääsy aikuisten käyttöön viivästyisi.

AstraZeneca on sitoutunut siihen, että jokainen kehitteillä tai markkinoilla jo oleva lääke arvioidaan perusteellisesti lastenlääkenäkökohdat huomioon ottaen. Lastenlääkekomitean käsittelyssä on parastaikaa useita tutkimussuunnitelmia. Markkinoille on hiljattain tuotu Nexium-tuoteperheeseen kuuluva uusi annosrakeet-lääkemuoto 1-11-vuotiaiden lasten gastroesofageaalisen refluksitaudin (GERD) hoidon helpottamiseksi.

Tärkeänä menestystekijänä lastenlääkkeiden kehityksessä on tulevaisuudessa tiivis yhteistyö viranomaisten, teollisuuden sekä eri alojen asiantuntijoiden välillä parhaan lopputuloksen saavuttamiseksi.

Kirjallisuutta

1. EMEA, <http://www.emea.europa.eu>
2. FINPEDMED, www.hyksinstituutti.fi
3. Virkki M, Broms M. Lapsille turvallista ja tehokasta lääkehoitoa – Euroopan parlamentin ja neuvoston asetus lastenlääkkeistä. TABU 2007;1:6-8.