

# Hvordan er lægemidler reguleret?

## Introduktion

Et lægemiddel kan ikke markedsføres i Den Europæiske Union (EU), medmindre virksomheden har opnået en markedsføringstilladelse (MA) for dette lægemiddel fra den relevante lægemiddelmyndighed. Markedsføringstilladelser gives kun til lægemidler, hvis sikkerhed, virkning og høje kvalitet er dokumenteret.

Hvis en medicinalvirksomhed ønsker at opnå tilladelse til at markedsføre et nyt lægemiddel, skal den indsende en ansøgning om markedsføringstilladelse (MAA) til den eller de relevante lægemiddelmyndighed(er).

## Fastlæggelse af reglerne for lægemiddelregulering

Reglerne for at opnå markedsføringstilladelse er fastsat i forskellige retsakter på europæisk og nationalt plan:

- Forordninger og direktiver
- Retningslinjer

## Forordninger og direktiver

EU-forordninger og -direktiver foreslås af Europa-Kommissionen og vedtages i fællesskab af Rådet og Europa-Parlamentet efter en gennemgang og eventuelle ændringer.

Når forordninger er vedtaget, gælder de direkte som love i alle medlemsstaterne (MSs).

Direktiver er instruktioner til medlemsstaterne. Bestemmelserne i et direktiv skal indføres i medlemsstaternes nationale lovgivning.

Du kan finde alle forordninger og direktiver på Europa-Kommissionens websted i EudraLex: [http://ec.europa.eu/health/documents/eudralex/vol-1/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/documents/eudralex/vol-1/index_en.htm)

## Retningslinjer

Forordninger og national lovgivning er ikke altid særlig detaljerede. For at lette lovgivningens fortolkning og dens ensartede anvendelse i hele EU er der vedtaget en lang række retningslinjer af regulatorisk og videnskabelig karakter. De giver mere detaljeret information til både industrien og lægemiddelmyndighederne om, hvad de præcist skal gøre i en given situation.

Udkast til retningslinjer offentliggøres med henblik på en åben høring, inden den endelige udgave vedtages af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA's) Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) og/eller Europa-Kommissionen.

[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general\\_content\\_000043.jsp&mid=WC0b01ac05800240cb](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000043.jsp&mid=WC0b01ac05800240cb)

Når en virksomhed indsender dokumentation i forbindelse med en ansøgning om markedsføringstilladelse, skal lægemiddelmyndighederne vurdere, om virksomheden har fulgt de relevante retningslinjer. Det er kun acceptabelt at afvige fra en retningslinje, hvis der er en solid videnskabelig begrundelse herfor.

## Vurdering af et lægemiddel med

# henblik på markedsføringstilladelse

Lægemedelmyndighederne kontrollerer den dokumentation, som virksomheden har indsendt, og vurderer, om det i tilstrækkelig grad er påvist, at lægemidlet overholder kriterierne for:

- Kvalitet
- Sikkerhed
- Virkning

I dokumentationen skal det ligeledes påvises, at fordelene ved at tage lægemidlet opvejer risiciene (et positivt benefit/risk-forhold).

## **Kvalitet**

Det aktive stof i lægemidlet skal være af høj kvalitet. Virksomheden skal beskrive, hvordan den fremstiller det aktive stof. Den skal ligeledes dokumentere karakteren og mængden af eventuelle urenheder i det aktive stof, og hvordan den kontrollerer disse mængder.

Virksomheden skal også beskrive, hvordan den fremstiller det færdige lægemiddel, samt alle de anvendte testprocedurer for at sikre god kvalitet.

## **Sikkerhed**

Under lægemidlets udvikling skal virksomheden bevise, at det aktive stof og det færdige lægemiddel er sikre. Lægemidlet skal først testes på dyr (non-kliniske sikkerhedstest) og derefter på mennesker (kliniske undersøgelser).

Virksomheden skal indsamle alle oplysninger om eventuelle mulige eller observerede bivirkninger.

## **Virkning**

Resultaterne af de kliniske forsøg skal vise, at lægemidlet har den ønskede effekt.

## Vurdering af fordele og risici

Den vigtigste opgave for lægemiddelmyndighederne er at vurdere balancen mellem lægemidlets fordele og risici. Et lægemiddel kan aldrig være fuldstændig sikkert. Derfor skal lægemiddelmyndighederne overveje følgende spørgsmål, inden de godkender et lægemiddel:

- Hvad er alle de gode virkninger af lægemidlet – hvad er f.eks. behandlingens effekt på sygdommen?
- Hvad er de skadelige virkninger af lægemidlet – var der f.eks. nogen bivirkninger?
- Opvejer fordelene ved at tage lægemidlet risiciene?

Vurderinger af fordele og risici er ikke ligetil. En nøje overvejelse af lægemidlets eventuelle bivirkninger skal munde ud i, at de er acceptable. Dette afhænger af mange ting – f.eks. hvor alvorlig sygdommen er.

- Hvis lægemidlet er beregnet til behandling af lette smerter, ville kun nogle få lette bivirkninger være acceptable.
- Hvis lægemidlet er beregnet til behandling af alvorlige kræfttilfælde, hvor der endnu ikke findes nogen behandling, kan ret svære bivirkninger blive accepteret. Dette skyldes, at fordelene ved en øget livskvalitet eller en livsforlængende virkning kan opveje de risici, der er ved at tage lægemidlet.

## Patientinddragelse

Patienterne er vigtige interessenter ved godkendelsen af nye lægemidler, da det er dem, der rent faktisk tager lægemidlerne.

På europæisk plan har Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA) skitseret en række scenarier, hvor patienterne bliver inddraget i de regulatoriske processer.

Patientforeningerne har to sæder i EMA's bestyrelse. Herudover har de formelle medlemmer i fire af de syv videnskabelige udvalg:

- Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme (COMP)
- Udvalget for Avancerede Terapier (CAT)
- Det Pædiatriske Udvalg (PDCO)
- Udvalget for Risikovurdering inden for Lægemiddelovervågning (PRAC)

Endvidere vil Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) – som er ansvarligt for vurderingen af de ansøgninger om markedsføringstilladelse, der indsendes via den centrale procedure (CP) – høre patientforeningerne i specifikke tilfælde, hvis der er behov for dette.

EMA's patient- og forbrugerarbejdsgruppe (PCWP), der blev oprettet i 2006, har gjort det muligt for agenturet at bygge videre på det eksisterende samarbejde med patienter og forbrugere. Den fremsætter anbefalinger til EMA og EMA's videnskabelige udvalg for lægemidler til mennesker om alle lægemiddelrelaterede spørgsmål.

## References

European Medicines Agency (2019). *Mandate, objectives and composition of the Patients and Consumers Working Party (PCWP)* Retrieved 31 July, 2021, from [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2010/02/WC500073497.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2010/02/WC500073497.pdf)