W jaki sposób leki są regulowane?

Wprowadzenie

Lek nie może być wprowadzony do obrotu na rynku w Unii Europejskiej (UE), chyba że firma uzyskała od właściwego organu regulacyjnego pozwolenie na dopuszczenie (Marketing Authorisation – MA) leku do obrotu. Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu są przyznawane lekom, których bezpieczeństwo, skuteczność i wysoka jakość zostały potwierdzone.

Jeśli firma farmaceutyczna zamierza uzyskać pozwolenie na dopuszczenie nowego leku do obrotu, musi wtedy złożyć odpowiednim organom regulacyjnym Wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu (Marketing Authorisation Application – MAA).

Ustalanie zasad regulacji leków

Zasady uzyskiwania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu określone są w różnych dokumentach legislacyjnych na poziomie europejskim i krajowym:

- Rozporządzenia i dyrektywy
- Wytyczne

Rozporządzenia i dyrektywy

Rozporządzenia i dyrektywy UE są proponowane przez Komisję Europejską i wspólnie przyjmowane przez Radę i Parlament Europejski po przeglądzie i potencjalnym wprowadzeniu poprawek.

Po przyjęciu przepisów mają one bezpośrednie zastosowanie do

Państw Członkowskich.

Dyrektywy i instrukcje dla Państw Członkowskich. Wymogi dyrektywy muszą być wprowadzone do krajowego prawodawstwa Państw Członkowskich.

Wszystkie rozporządzenia i dyrektywy można znaleźć na stronie internetowej Komisji Europejskiej w publikacji Eudralex: http://ec.europa.eu/health/documents/eudralex/vol-1/index_en.htm

Wytyczne

Rozporządzenia i prawa krajowe nie zawsze mają szczegółowy charakter. W celu ułatwienia interpretacji prawodawstwa i jednolitego zastosowania w całej UE przyjęto liczne wytyczne o charakterze regulacyjnym i naukowym. Zapewniają one bardziej szczegółowe informacje zarówno na potrzeby branży, jak również organów regulacyjnych odnośnie do procedury postępowania w określonych sytuacjach.

Projekt wytycznych jest publikowany w celu otwartej konsultacji przed przyjęciem wersji ostatecznej przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (Committee for Medicinal Products for Human Use – CHMP) Europejskiej Agencji Leków (European Medicines Agency – EMA) oraz Komisję Europejską http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000043.jsp&mid=WC0b01ac05800240cb

Po złożeniu przez firmę dokumentacji wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu organ regulacyjny ocenia, czy firma zastosowała się do odpowiednich wytycznych. Odchylenia od wytycznych są dopuszczalne tylko przy solidnym uzasadnieniu naukowym.

Ocena leku dla celów pozwolenia na dopuszczenie do obrotu

Organy regulacyjne sprawdzają dokumentację złożoną przez firmę i oceniają, czy wystarczająco dowodzi ona, że lek spełnia kryteria:

- Jakość
- Bezpieczeństwo stosowania
- Skuteczność

Dokumentacja musi również przedstawiać, że korzyści przyjmowania leku są większe niż ryzyko z tym związane (pozytywny stosunek korzyści do ryzyka)

Jakość

Substancja czynna w leku musi mieć wysoką jakość. Firma musi opisać sposób produkcji substancji czynnej. Musi również udokumentować charakter i ilość zanieczyszczeń w substancji czynnej oraz sposób kontroli tych ilości.

Firma musi również opisać sposób wytworzenia gotowego produktu leczniczego, jak również wszelkie procedury testowe stosowane do zapewnienia dobrej jakości.

Bezpieczeństwo stosowania

W trakcie opracowywania leku firma musi wykazać, że substancja czynna i gotowy produkt medyczny są bezpieczne. Lek powinien być przetestowany najpierw na zwierzętach (niekliniczne badania bezpieczeństwa), a następnie z udziałem ludzi (badania kliniczne).

Firma musi zebrać wszystkie informacje dotyczące potencjalnych i zaobserwowanych reakcji niepożądanych.

Skuteczność

Wyniki badań klinicznych powinny pokazywać, że lek ma zamierzony skutek.

Ocena stosunku korzyści do ryzyka

Najważniejszym zadaniem organów regulacyjnych jest ocena równowagi pomiędzy korzyściami a ryzykiem związanym z lekiem. Lek nigdy nie może być całkowicie bezpieczny. Oznacza to, że przed wydaniem pozwolenia dla leku, organy regulacyjne muszą wziąć pod uwagę:

- Jakie są pozytywne skutki leku – na przykład działania w leczeniu choroby?
- Jakie są szkodliwe skutki leku – na przykład czy były jakiekolwiek reakcje niepożądane?
- Czy korzyści stosowania leku są większe niż ponoszone ryzyko?

Oceny stosunku korzyści do ryzyka są skomplikowane. Dokładne uwzględnienie wszelkich działań niepożądanych leku musi dowodzić, że są one dopuszczalne. Zależy to od wielu rzeczy – na przykład jak poważna jest choroba.

- Jeżeli lek jest przeznaczony do leczenie lekkiego bólu, wówczas dopuszczalne będzie tylko kilka lekkich działań niepożądanych.
- Jeżeli lek jest przeznaczony do leczenia poważnego nowotworu, dla którego żadne leczenie nie jest obecnie dostępne, wówczas dopuszczalne są dość poważne działania niepożądane. Wynika to z faktu, że korzyści z lepszej jakości życia i działania przedłużające życie mogą być bardziej istotne niż ponoszone ryzyko związane z przyjmowaniem leku.

Współpraca z pacjentami

Pacjenci są ważnymi interesariuszami w procesie zatwierdzania leków, ponieważ to oni ostatecznie przyjmują lek.

Na poziomie europejskim, Europejska Agencja Leków (European Medicines Agency – EMA) określiła szereg różnych scenariuszy, w których pacjenci są zaangażowani w proces regulacyjny.

Organizacje pacjentów mają dwa miejsca w zarządzie EMA. Ponadto mają formalnych członków w siedmiu komitetach naukowych:

- Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. Committee for Orphan Medicinal Products, COMP)
- Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (ang. Committee for Advanced Therapies, CAT)
- Komitet Pediatryczny (ang. Paediatric Committee, PDCO)
- Komisja ds. oceny ryzyka w ramach nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii (ang. Pharmacovigilance Risk Assessment Committee, PRAC)

Ponadto Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (Committee for Human Medicinal Products – CHMP), odpowiedzialny za ocenę wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu poprzez procedurę zcentralizowaną, konsultuje się z organizacjami pacjentów w określonych przypadkach w razie wystąpienia takiej potrzeby.

Założona w 2006 roku Grupa Robocza ds. Pacjentów i Konsumentów (Patients' and Consumers' Working Party – PCWP) agencji EMA, umożliwiła Agencji rozwój w oparciu o interakcje z pacjentami i konsumentami. Zapewnia ona agencji EMA i komitetom naukowym ds. badań z udziałem ludzi rekomendacje odnośnie do wszelkich kwestii związanych z lekami.

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