

**Európai Gazdasági és Szociális Bizottság vélemény – Tárgy: „Javaslat európai parlamenti és tanácsi rendeletre a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekről, valamint a 2001/83/EK irányelv és a 726/2004/EK rendelet módosításáról”**

COM(2005) 567 final – 2005/0227 (COD)

(2006/C 309/03)

2006. január 10-én az Európai Unió Tanácsa úgy határozott, hogy az Európai Közösséget létrehozó szerződés 95. cikke alapján kikéri az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményét a fent említett tárgyban.

A bizottsági munka előkészítésével megbízott „Egységes piac, termelés és fogyasztás” szekció véleményét 2006. május 31-én elfogadta. (Előadó: Adrien BEDOSSA)

Az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság 2006. július 5–6-án tartott 428. plenáris ülésén (a július 5-i ülésnapon) 150 szavazattal, 1 tartózkodás mellett elfogadta az alábbi véleményt.

## 1. Összefoglalás

1.1 Az EGSZB üdvözli a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekről szóló, a 2001/93/EK irányelvet és a 726/2004/EK rendeletet módosító európai parlamenti és tanácsi rendeletre vonatkozó javaslatot.

1.2 Mivel a tudomány – különösen a biotechnológiák területén – egyre nagyobb léptekkel halad előre, szükség van a világos meghatározásra, szabályozásra és szakértelemre.

1.3 A javaslat célja, hogy lehetővé tegye egy egységes keretrendszer létrehozását a fejlett terápiák vonatkozásában, a jelenlegi szabályozási hézag áthidalását, illetve az Európai Gyógyszerügynökség különleges értékelési eljárásának megerősítését ezekben az új tudományágakban. Ezáltal:

– körültekintő válasz adható a betegek kívánságaira, valamint a „regeneratív gyógyászat” területén a kutatásban és fejlesztésben érdekelt gyártók elvárásaira;

– biztosítható az európai betegek egészségvédelmének magas szintje;

– átfogó jogbiztonság teremthető, ugyanakkor technikai szinten megfelelő rugalmasságot téve lehetővé a tudomány és technika fejlődésével való lépéstartás érdekében.

1.4 A fejlett terápiás készítmények sajátosságaira tekintettel alapvető fontosságú egy szilárd és átfogó szabályozási keretrendszer létrehozása, mely valamennyi tagállamban alkalmazandó.

1.5 A szabályozásra a rendelet tekinthető a legmegfelelőbb jogi eszköznek, annál is inkább, mivel amíg nincs különös szabályozás, a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények vonatkozásában az Európai Unióban még meglévő közegészségügyi problémák nem oldhatók meg.

1.6 Ugyanakkor a rendelettervezet tartalmaz néhány olyan aspektust, amely a megadott fogalom meghatározás alapján alkalmazási problémákhoz vezethet az orvosi eszközökről szóló irányelvtervezettel kapcsolatban. A végleges változatban számos kétséges kérdést tisztázni kell:

– Mi a jelentősége az új szabályozásnak, hiszen a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények kérdését – a génterápia, illetve a szomatikus sejterápia esetében – a gyógyszerekről szóló külön irányelvek is szabályozzák?

– A 2. cikk b) pontjába foglalt fogalom meghatározások különösképpen bonyolultnak tűnnek, és inkább mellékszerepük van;

– Az is világos, hogy a nemzeti gyógyszer szabályozás útjába állhat az európai szabályozás alkalmazásának;

– Ebben az esetben többet érne rugalmasabb megközelítéshez és kölcsönös elismerésekhez folyamodni;

– A kórházszektorban megjelenő autológ (a betegtől származó) készítmények és a nem ipari eredetű készítmények kérdése felveti a más eredetű és európai alkalmazású határtermékek kérdését is.

## 2. Általános észrevételek

2.1 A rendeletjavaslat cikkről cikkre történő vizsgálata során a következő észrevételeket, kérdéseket, illetve ajánlásokat fogalmaztuk meg: A 2. cikk, „Fogalom meghatározások”<sup>(1)</sup> tekintetében:

2.2 A génterápiás és a szomatikus sejterápiás készítmények vonatkozásában a fogalmak meghatározása általánosságban nem vet fel problémát, mivelhogy az idő adta távlat és a tapasztalat konszenzus elérését tette lehetővé a tárgyban; ezek a termékek gyógyszerként vannak besorolva, és mint ilyenek már szabályozva vannak a Közösségben.

2.2.1 A módosított szövet alapú („tissue engineered”) készítmények meghatározása összetettebbnek tűnik. A 2. cikk (1) (b) pontjának jelenlegi változata szerint a módosított szövet alapú készítmény „módosított sejteket vagy szöveteket tartalmaz, vagy ilyenekből áll”, eszerint – ha nem egészítjük ki az „állandó alkotóelemként” kifejezéssel – olyan gyógyszertermékek is az innovatív gyógyszerkészítmények közé számíthatnak, amelyek kiegészítő módosított szövet alapú készítményeket tartalmaznak. Ez aláeset az orvosi eszközökről szóló, jelenleg megvitatás alatt álló irányelvjavaslat rendelkezéseit.

<sup>(1)</sup> COM(2005) 567 final.

2.2.2 A 2. cikk (1) (b) pontjában a második francia bekezdés megfogalmazása is problémákhoz vezethet az alkalmazás során, illetve főként átfedéseket eredményezhet az orvosi eszközökről szóló irányelvvel. Mivel a módosított szövet alapú készítmények a gyógyszerekről szóló rendelet alkalmazási területéhez tartoznak, utalni kellene a betegségek meggyógyításával, illetve megelőzésével, valamint a fiziológiai funkciók farmakológiai, immunológiai és metabolikus hatásuk révén történő befolyásolásával kapcsolatos elsődleges tulajdonságaikra, ahelyett, hogy „az emberi szövet újraképzésének, helyreállításának vagy helyettesítésének” tulajdonságaira korlátozódik a meghatározás. Ilyen tulajdonságok ugyanis más gyógyszerkészítményeknek is tulajdoníthatók.

2.3 Ki kell emelni a „módosított szövet alapú készítmények” legteljesebb körülírására tett erőfeszítést. Ugyanakkor nincs eléggé világosan megfogalmazva ezen készítmények eltérése a sejterápiától (csontvelőátültetés, őssejt-beültetés, köldökzsinórvér-beültetés, felnőtt szöveti vagy embrionális őssejtek...).

2.4 Az EGSZB javaslata szerint a jelenleg módosított szövet alapú készítmények közé sorolt termékek példából kiindulva lehetne tisztázni a fogalom meghatározását. Ezáltal javulhatna a megértés, különösképpen mivel nem titok, hogy a kérdés körül vita van például az embrionális őssejtek vonatkozásában.

2.5 A humán embrionális őssejtek kérdéskörén kívül az etikai vonatkozások már semmilyen problémát nem vetnek fel.

2.6 A központi vita az őssejtek kinyerésének módjáról folyik. Különösképpen az őssejtek sejtmag-átültetéssel (másképp klónozással) történő előállítását vet fel komoly etikai kérdéseket, és erről a mai napig semmilyen valódi konszenzust nem sikerült kialakítani az Európai Unióban. A gyakran megfogalmazott aggályok a reprodukció klónozás, a petesejt-kereskedelem és az emberi testrészek kereskedelmének veszélyeire hívják fel a figyelmet.

2.7 A bioetikáról szóló európai egyezmény (az 1998-as Oviedo Egyezmény), valamint a Nemzetközi Bioetikai Bizottság (UNESCO, 1997) egyébiránt kifejezetten elítélte ezeket a gyakorlatokat.

2.8 Az Európai Unió tagállamai közötti egyetértés hiányában a humán embrionális őssejtek felhasználása nemzeti felelősségi körbe tartozik.

2.9 A preambulumbekkezdésekben<sup>(2)</sup> megfogalmazott pontosítás tehát lényegi fontosságú, mivel egyértelműen tekintetbe veszi a létező vitát és emlékeztet arra, hogy ez a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények közösségi szintű szabályozására vonatkozó szöveg „nem sértheti a tagállamok által emberi sejtek meghatározott típusainak, mint például az embrionális őssejtek, vagy állati sejtek felhasználásának megengedésére vonatkozóan hozott határozatokat”.

2.10 A szöveg továbbá „nem befolyásolja az e sejteket tartalmazó, ezekből álló vagy ezekből előállított gyógyszerek értékesítését, szállítását és felhasználását megtiltó vagy korlátozó nemzeti jogszabályok alkalmazását”.

(2) COM(2005) 567 final, 6. preambulumbekkezdés

### 3. Részletes megjegyzések

3.1 Az elvek harmonizálása a jelenleg közösségi szinten szabályozott minden más modern biotechnológiai gyógyszerkészítménnyel kapcsolatban egy központosított engedélyezési eljárás útján történik, amely magában foglalja a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények minőségének, biztonságának és hatáosságának egységes tudományos értékelését.

3.2 A fejlett terápiás gyógyszerkészítmények azonban a hagyományos orvoslás gyógymódjaival szemben természetüknél fogva speciális preklinikai és klinikai eljárásokat feltételeznek, nevezetesen a tudományos szakértelem, illetve a forgalomba hozatal engedélyezése utáni kockázatkezelési és farmakovigilancia terv tekintetében.

3.3 A véleményünkben tárgyalt rendelettervezet igen helyesen kiemeli annak szükségességét, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek értékelésével foglalkozó bizottságokban (CHMP<sup>(3)</sup>) ezen készítmények értékeléséhez speciális szakértelem álljon rendelkezésre, a betegek szövetségeinek az értékelő csoportokba történő bevonásával egyetemben.

3.4 Meghatározó az a javaslat, mely a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (CAT<sup>(4)</sup>) létrehozására vonatkozik és előírja, hogy ezzel a testülettel az Európai Gyógyszerügynökség emberi felhasználásra szánt gyógyszereket értékelő bizottságának – végső tudományos véleménye meghozatala előtt – konzultációt kell folytatnia minden, a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekhez kapcsolódó adat értékelésekor.

3.5 A fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság felállítása ugyanis lehetővé teszi a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények területén dolgozó, közösségi szinten jelenleg rendelkezésre álló szűk körű szakértői elit és az érintett felek választott képviselőinek összefogását.

3.6 Teljesen indokolt a bizottság létrehozása, mivel így lehetőség nyílik – a tudományos eljárásokon túlmenően – a helyes klinikai gyakorlatra és a helyes gyártási gyakorlatra vonatkozó szabványok meghatározására, illetve értékelésére is a forgalomba hozatal engedélyezéséig és azon túl.

3.7 Fontos annak az elvnek a megemlítése, amely szerint „a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekben lévő emberi sejteket és szöveteket önkéntes és térítésmentes adományozásból kell begyűjteni”; ezzel válasz adható azokra az állandó törekvésekre, amelyek a szövetekre és sejtekre vonatkozó biztonsági előírások szintjének emeléséhez, az emberi testrészek kereskedelmének elkerüléséhez, illetve az emberi egészség védelméhez fűződnek.

3.8 Az Európai Gyógyszerügynökség tanácsadói szerepe megerősítést nyert, és ez a szerep minden szinten meghatározó lesz, legyen szó a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények gyártásáról, a helyes gyártási gyakorlatról vagy a készítmény sajátos jellegének tükrözésére vonatkozó szabályokról, címkézéssről és technikai utasításokról, valamint azokban az esetekben, amikor a tudomány fejlődése folytán megjelenő más területekkel – így a kozmetikumokkal vagy egyes orvostechikai eszközökkel – kapcsolatos határvonalat kell meghúzni.

(3) CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use): Emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága

(4) CAT: Committee for Advanced Therapies

3.8.1 Vannak, akik úgy vélik, hogy az alkalmazott eljárások magas költséggel járhatnak, míg a nemzeti engedélyezések takarékosabb természetűek. Problémát jelenthet továbbá, hogy tagállami szinten hosszabb, öt éves az átmeneti időszak, szemben az uniós 2 évvel. A decentralizált nemzeti eljárás politikájának az a veszélye, hogy akadályozhatja a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekhez való hozzáférést. Egyes tagállamok ugyanis rendelkeznek a hozzáférésről, míg mások nem.

3.9 Végezetül a javaslat hasznos áttekintést ad a gazdasági szempontokról<sup>(9)</sup>. Alapvetően fontos, hogy az egészségipar globális versenyében az Európai Unió elfoglalja helyét mind a belső, mind a világpiacon.

3.10 A bizonytalansághoz, illetve a tudományos téren tapasztalható gyors változásokhoz kapcsolódó gazdasági kockázatok, valamint a tanulmányok magas költségei visszatartó erővel hatnak a jelentős és tartós beruházásokra a gyógyszergyártás – különösképpen a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények – területén.

3.11 Ráadásul gyakran kis-és középvállalkozások végzik a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények minőségének és nem klinikai biztonságának bemutatásához szükséges tanulmányokat, gyakran nem a gyógyszerészeti területen szerzett korábbi tapasztalatokra támaszkodva (általában biotechnológiai laborok vagy gyógyszergyártók „spin off” vállalatairól van szó).

3.12 Ezért helytálló az a javaslat, amely szerint az e tanulmányok elvégzésének támogatására és ösztönzésére be kell vezetni az „adatok Ügynökség általi értékelési és tanúsítási rendszerét, függetlenül a forgalomba hozatali engedély iránti kérelemtől”.

3.12.1 A módosított szövet alapú készítményeknél gyakran a KKV-k fejlesztik ki a terméket – „start-up” és „spins-off” tevékenységekkel –, tehát nem a nagyobb gyógyszergyártó cégek. Ennélfogva a következő kérdések merülnek fel:

- Mire vonatkozzon a rendelet hatálya ahhoz, hogy működőképes legyen? Nem fog-e nagy vitákat kavarni, noha az alkalmazott technológiák ígéretesek?
- A fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (CAT) összetétele felveti az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságától (CHMP) való függésének problémáját, mely utóbbi tagállamonként egy képviselőből áll.
- Az alkalmazott jogalkotási keret nem teljesen adekvát, mivel nem hagyományos gyógyszeripari termékekről lévén szó más szövegeket is módosítani kell.
- Az összegek felhasználására vonatkozó elővigyázatosság tiltakozást idézhet elő az adott országokban, ezért a megfogalmazásnak adekváttnak kell lennie, hiszen az ördög a részletekben lakozik.

3.13 A forgalomba hozatali engedély iránti jövőbeli kérelmek értékelésének megkönnyítése érdekében az ugyanazon adatok alapul vételét lehetővé tévő javaslat támogatandó és bátorítandó.

3.14 Ugyanakkor körültekintően kell eljárni, és a tudományos adatok terén tapasztalható gyors fejlődést (lásd az adatok érvényességi idejét, birtoklásuk feltételeit) figyelembe véve szükség esetén ki kell igazítani a rendelkezést, folyamatosan gondoskodva a betegek egészségvédelméről, illetve ügyelve az etikai normák tiszteletben tartására.

3.15 Az „e rendelet végrehajtásáról a tapasztalatok alapján” készülő jelentés alkalmat adhatna a megvitatásra az illetékes hatóságokon belül, különösen a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottságban (CAT) és az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek értékelésével foglalkozó bizottságban (CHMP).

3.15.1 A CAT, a szakértői véleményt adó eredeti mechanizmus alárendelése a CHMP-nek azonban igen megnehezíti az eljárásokat, és talán felesleges ellentétekhez vezethet.

3.16 A közzeendő jelentésben (8. fejezet 25. cikk), „amelynek összefoglaló tájékoztatást kell tartalmaznia az e rendeletnek megfelelően engedélyezett fejlett terápiás gyógyszerkészítmények különféle típusairól”, a 6. fejezetben (17., 18. és 19. cikk) tárgyalt ösztönzőkre vonatkozó információk és eredmények is helyet kellene hogy kapjanak: „Tudományos tanácsadás”, „Tudományos ajánlás a fejlett terápiás besorolásról”, illetve „Minőségtanúsítás és nem klinikai adatok”.

#### 4. Következtetések

4.1 Összességében véve a rendeletre vonatkozó javaslat helytálló és hasznos. A betegek érdekében módot ad a tudományos fejlődéssel való lépéstartásra, meghatározza a fogalmakat, illetve a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények felhasználási feltételeit.

4.1.1 Amennyiben ezek az új technológiák újabb reményt adnak a betegeknek az emberi szenvedés leküzdésére, a jogos elvárásra válaszolandó – különösen a regeneratív gyógyászat területén – a kutatások felügyeletét olyan alapvető vizsgálatok segítségével kell elvégezni, amelyek előírásai abszolút biztonságot garantálnak a betegek számára. Ebben az értelemben az egészségvédelem magas szintjének garantálása mellett (lásd az indoklás 2.1. pontját) a gyógyászati minőségbiztosítást is fő célként kellene megjelölni. Nem szabad megfelelkezni a fel nem használt hulladékok kérdéséről mint környezetvédelmi szemponttól sem.

4.2 A rendelet jelentősége különösen a génterápia és a szomatikus sejterápia területén kimagasló. Az az elővigyázatosság, amely mind a fogalom meghatározások, mind a módosított szövet alapú készítmények felhasználása terén nyilvánul, jól mutatja azt a tényt, hogy e rendelettervezet nem szándékozik dűlőre vinni a vitát vagy elébe menni az egyes tagállamok saját döntéseinek, mivel az etikai vita még nem zárult le, és alapjában véve a humanista értékek különböző olvasatáról van szó.

<sup>(9)</sup> COM(2005) 567 final, 23. preambulumbekzdés

4.2.1 A rendelettervezet megteremti az előfeltételeket mind az orvosi eszközökről szóló irányelvtervezetben, mind a jelen rendelettervezetben egyszerre meglévő szabályozási hézag áthidalásához. A kockázatértékelés mint alapelv lefedi a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények és az orvosi eszközök alkalmazási körét. Bonyodalom a kombinált készítmények (vagyis módosított szövet alapú összetevőket tartalmazó orvosi eszközök) esetén alakulhat ki: Ebben az esetben mind a minőséget, mind a biztonságot szavatolni kell, és az értékelés keretében meg kell

vizsgálni az abban a speciális orvosi eszközben előforduló fejlett gyógyszerkészítmény használatának hatékonyságát is.

4.3 Az EGSZB kedvező véleményt fogalmaz meg a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekről szóló, a 2001/83/EK irányelvet és a 726/2004/EK rendeletet módosító európai parlamenti és tanácsi rendeletre vonatkozó javaslatról, hangsúlyozza azonban azokat a kritikus pontokat, amelyekre egyértelmű megoldásokat kell találni ahhoz, hogy biztosítva legyen az irányelv korrekt alkalmazása.

Brüsszel, 2006. július 5.

az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság

elnöke

Anne-Marie SIGMUND

**Európai Gazdasági és Szociális Bizottság vélemény – Tárgy: „A Bizottság közleménye a Tanácsnak, az Európai Parlamentnek, az Európai Gazdasági és Szociális Bizottságnak és a Régiók Bizottságának – A Közösség lisszaboni programjának végrehajtása: a szabályozási környezet egyszerűsítésére irányuló stratégiáról”**

COM(2005) 535 final

(2006/C 309/04)

2005. december 9-én az Európai Bizottság úgy határozott, hogy az Európai Közösséget létrehozó szerződés 262. cikke alapján kikéri az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményét a fent említett tárgyban.

A bizottsági munka előkészítésével megbízott „Egységes piac, termelés és fogyasztás” szekció véleményét 2006. május 31-én elfogadta. (Előadó: **Bryan Cassidy**)

Az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság 2006. július 5–6-án tartott 428. plenáris ülésén (a 2006. július 5-i ülésnapon) 146 szavazattal, 6 tartózkodás mellett elfogadta az alábbi véleményt.

## 1. Az EGSZB következtetései és ajánlásai

1.1 Ez a vélemény az Európai Bizottság felkérésére készült, a 2005. márciusi, *Jobb szabályozás a növekedés és a munkahelyteremtés területén az Európai Unióban* című európai bizottsági közlemény<sup>(1)</sup> alapján.

1.2 Az egyszerűsítésnek magas színvonalú, könnyebben érthető és „felhasználóbarátabb” szabályozási keretet kell eredményeznie.

1.3 Az uniós jogszabályok fokozott tiszteletben tartásához kell vezetnie, eközben növelnie kell legitimitásukat.

1.4 Az EGSZB úgy vélekedik, hogy a tagállamokra jelentős felelősség hárul annak biztosításában, hogy az uniós intézkedések nemzeti jogrendszerükbe megfelelően átültetésre, majd alkalmazásra kerüljenek. Az EGSZB elismeri, hogy a jobb jogalkotásról szóló intézményközi megállapodás<sup>(2)</sup> „magatartási kódexet” ír elő a tagállamok számára az uniós irányelvek jobb

átültetése és alkalmazása tekintetében. Az a lényeg, hogy a nemzeti szinten kialakuló szabályozási keret tartalmilag minél kiegyensúlyozottabb, ugyanakkor a lehető legegyszerűbb legyen a vállalkozások, a munkavállalók, a fogyasztók és a civil társadalom minden szereplője számára.

1.5 Az EGSZB azt szorgalmazza, hogy vonják be a társadalmi-szakmai szereplőket a szabályozás egyszerűsítését célzó „komitológiai” eljárásokba, a SLIM bizottságokhoz hasonló módon, de rendszeresebben és e szabályozás előkészítő szakaszában, nem pedig utólag, ahogy a SLIM-kísérletek esetében történt.

1.6 Az EGSZB azt szeretné, ha az Európai Bizottság és az érdekeltek között sűrűbben kerülne sor olyan konzultációra, amely a szóban forgó közlemény alapjául szolgált. Úgy véljük, hogy ez lényegesen segítené a közlemény 3 (d) pontjában említett „együttszabályozási” folyamatot<sup>(3)</sup> Azt azonban sajnálattal állapítjuk meg, hogy az „önszabályozásra”<sup>(4)</sup>, amelyet az EGSZB már egy ideje sürget,<sup>(5)</sup> egyáltalán nem történik utalás.

<sup>(3)</sup> HL C 321; 2003.12.31.

<sup>(4)</sup> HL C 321; 2003.12.31.

<sup>(5)</sup> Tájékoztató jelentés a következő témában: „Az együttszabályozás és az önszabályozás jelenlegi helyzete az egységes piacon”, CESE 1182/2004 fn, 2005. 1. 11., előadó: Bruno Veveř.

<sup>(1)</sup> COM(2005) 97, 2005.03.16.

<sup>(2)</sup> HL C 321., 2003.12.31.