



Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus | Säkerhets- och utvecklingscentret för läkemedelsområdet | Finnish Medicines Agency

Fimean tieteellinen neuvonta ja lääkeneuvola

Esa Heinonen, LT, dos
Prosessijohtaja
Lääkevalmisteiden arviointiprosessi 2
Fimea



Lääkepolitiikka 2020:n päälinjaukset

- 1. Lääkehuolto on kiinteä osa sosiaali- ja terveystalouden järjestelmää
- 2. Toimiva lääkehuolto turvaa laadukkaiden, vaikuttavien ja kohtuuhintaisten lääkkeiden saatavuuden
- 3. Rationaalinen lääkehoito ja lääkitysturvallisuuden edistäminen lisäävät hyvinvointia ja vähentävät terveydenhuollon kustannuksia
- **4. Lääketutkimus tuottaa lisää terveyttä, hyvinvointia ja uusia työpaikkoja Suomeen**
- 5. Korkeatasoinen eläinlääkintähuolto turvaa kansanterveyttä ja edistää ihmisten ja eläinten hyvinvointia

Lääketutkimus tuottaa lisää terveyttä, hyvinvointia ja uusia työpaikkoja

• Biolääketieteellinen perustutkimus

Translationalisuus



Yliopistot tutkimuslaitokset

Lääkekeksintö-prosessi

Patentointi



TEKES:
riskirahoitus

Lääketeollisuus

Lääkekehitys-prosessi

Palveluyritykset

Kliininen tutkimus

Farmaseuttiskemiallinen tutkimus

Nonkliininen tutkimus

Tuotanto

Myynti-lupaprosessi

Uusi lääke



Fimea

Fimea,
EMA

Lääkekehitys ja -viranomaistoiminta

Valvonta

Tarkastustoiminta: **GLP, GCP, GMP, GDP**

Laadunvalvonta

Kliinisten lääketutkimusten valvonta

Tieteellinen neuvonta

PIP (lastenlääke-
tutkimusohjelma)

Lääketurvatoiminta

Toimiluvat,
valmistus- ja
tuontiluvat

**Myyntiluvan
arviointi**

Myyntilupa

Lääkevalmisteen
muutokset

Lääkkeen elinkaari

Faasi 1-2

Faasi 3

Faasi 4

Tutkimus ja
keksintö

Lääkemuodon kehittäminen
ja lääkekandidaatin
tutkiminen

Myyntilupa-
hakemus

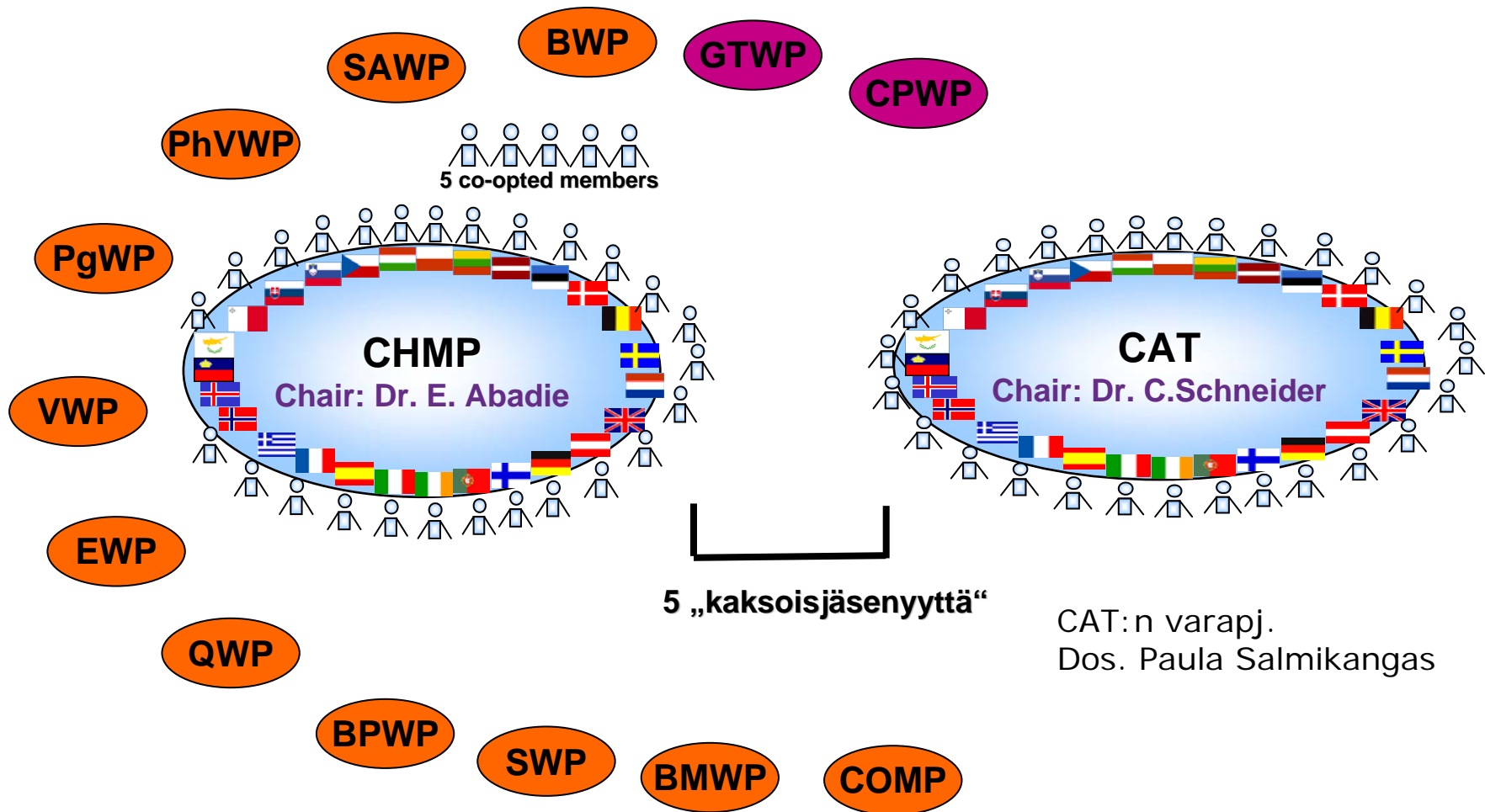
Valmistus, jakelu,
vähittäiskauppa

Tekninen ja
tieteellinen
kehitystyö

ATP serti-
fiointi

Lääkkeen elinkaari

Fimea on aktiivinen EMA:n eri komiteoissa ja työryhmissä



Fimean painopistealueet:

1. Innovatiiviset, uudet lääkkeet:
Biologiset lääkkeet

2. Rinnakkaislääkkeet

Lääkeviranomaisilta odotetaan aktiivisempaa roolia lääkekehityksen tukena

- EMA Road Map 2015: *Our goal is to stimulate medicine development & facilitate new approaches to medicine development*
- Fimea: tehostetaan sekä kansallista tieteellistä neuvontaa ("Lääkeneuvola") että osallistumista EMA:n kautta tapahtuvaan neuvontaan
- Pohditaan yhdessä sidosryhmien kanssa lääkekehityksen pullonkauloja ja vastataan varsinkin uusien teknologioiden (esim. kehittyneet terapiat) tuomiin haasteisiin/ Lääkekehitys Forum ?
- Fimea kehittää GxP-valvontaa ja -koulutusta
- Osallistutaan aktiivisesti ja ennakoivasti EMA:n eri työryhmissä lääkekehitykseen liittyvien ohjeistojen suunnitteluun

FIMEA:n painopistealueet tieteellisissä neuvonnoissa

- **Keskitetyissä neuvonnoissa biologiset valmisteet, biosimilaarit, geneeriset valmisteet ja keskitetyn prosessin alaiset valmisteet joissa olemme raportoineina**
- **Kansallisissa neuvonnoissa olemme tukeneet suomalaisia lääkeyrityksiä, mutta resurssien puitteissa olemme pyrkineet hyväksymään kaikki meille osoitetut tieteellisen neuvonnan hakemukset**

Tieteelliseen neuvontaan kerätään tiimi firman tekemien kysymysten mukaisesti

- Nonkliininen arvioija (farmakologia, solubiologia, toksikologia, kinetiikka)
- Laatuarvioija (farmasisti, bioteknologi)
- Kliininen arvioija
- (Farmakokineetikko)
- (Biostatistikko)
- Riskin hallinnan ja lääketurvan asiantuntija
- (HTA arvioija, farmakoekomisti)

Miksi tieteellistä neuvontaa haetaan?

- **Neuvontaa haetaan lääkekehitysprojektin aikana, jotta olisi suurempi todennäköisyys myöhemmän myyntilupahakemuksen hyväksymiselle**
- **Haetaan vastausta kysymyksiin, jotka liittyvät mm. tutkimukselle asetettaviin päätetapahtumiin, tutkimuspopulaatioon, tutkimuksen keston, tuotantoprosessin muutosten, proof-of-conceptin ja haettavan indikaation hyväksyttävyyteen**
- **Pyritään välttämään tarpeettomia ja kalliita tutkimuksia**
- **Suunniteltujen tutkimusten riittävyys turvallisuuden ja tehon osoittamiseksi**
- **Poikkeaminen olemassa olevista ohjeistuksista**
- **Vastaukset tieteellisesti ongelmallisiin kysymyksiin ja ratkaisujen etsiminen niihin**
- **Merkitys korostuu pienten ja keskisuurten lääkeyritysten kohdalla sekä terapiamuodoissa, joissa ohjeistus on keskeneräinen, mm. kehittyneet terapiat, geeniterapiat, biomarkkerit**

Miten viranomaisen hyötyy tieteellisestä neuvonnasta?

- Aikainen vaikuttaminen lääkekehitysprojektin kulkuun, jotta suunnitellut tutkimukset olisivat riittäviä valmisteen laadun, tehon ja turvallisuuden osoittamiseksi
- Neuvonnan yhteydessä viranomaisen pystyy päivittämään tietonsa tieteellisten, projektin hyödyllisyyteen ja ohjeistoihin liittyvien ongelmallisten kysymysten osalta
- Ohjeistoja voidaan päivittää neuvontojen yhteydessä esiin tulevien päivitystä vaativien kysymysten osalta
- Lääkekehitysprojekteille asetettujen vaatimusten harmonisointi

Kansallinen tai EMA neuvonta?

- **EMA:n antama neuvonta**
 - Neuvonta perustuu laajaan asiantuntemukseen ja annettavasta neuvonnasta keskustellaan suuremmalla ryhmällä
 - Saadaan neuvontaa, joka pätee useimpien jäsenvaltioiden kansallisiin ohjeistuksiin
 - Päästään kasvatusten neuvonnan antajan kanssa vain harvoin
 - Neuvonta on kallista
- **Kansallinen neuvonta**
 - Epävirallisempi
 - Tapahtuu useimmiten kasvatusten
 - Keskitettyä neuvontaa halvempi
 - Voidaan tunnustella kantoja/saada käsitys vaatimuksista vastaaville valmisteille
 - Annettu neuvonta ei välttämättä päde kaikissa jäsenvaltioissa
 - Erityisosaamisalueen hyödyntäminen
 - Tutkimus aiotaan tehdä tai kohdepopulaatio on neuvontaa antavassa maassa

EMA:n tieteellisen neuvonnan työryhmä (SAWP)

- Aloitti toimintansa nykyisessä muodossa toukokuussa 2004 (EC ohjeistus no. 726/2004 (Annex I) ”a standing working party of the CHMP with the sole remit of providing scientific advice, particularly regarding the development of new therapies”
- Yksi EMA:n työryhmistä
- Tiivis yhteistyö muiden työryhmien ja komiteoiden välillä (mm. BWP, PgWP, GTWP, SWP, PhVWP, CAT, COMP, PDCO)
- SAWP:n antaman tieteellisen neuvonnan hyväksyy CHMP
- SAWP:n kokoonpano
 - 27 varsinaista jäsentä (mukaan lukien varapuheenjohtaja) ja puheenjohtaja
 - 3 COMP jäsentä, 1 CAT jäsen, 1 PK asiantuntija, 2 prekliinistä asiantuntijaa, 2 metodologian ja tilastitiikan asiantuntijaa, asiantuntija tärkeille erikoisaloille (pediatria, kardiologia, diabetes, syöpätaudit, neurologia, infektioaudit ym.)
 - SWP ja EWP puheenjohtaja kutsutaan kokoukseen
 - 3 vuoden nimitysvirka

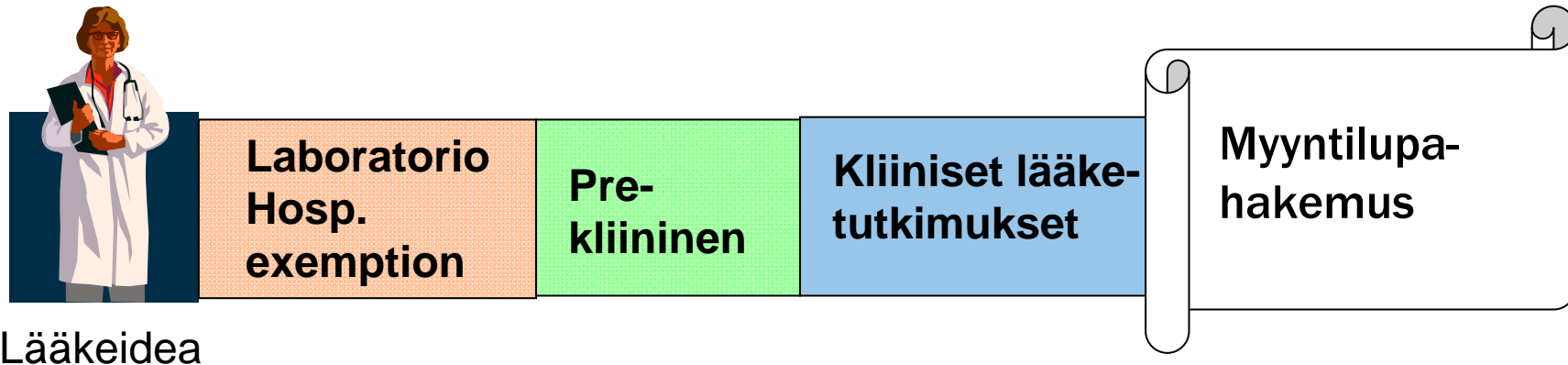
Tärkeitä kohdealueita tieteelliselle neuvonnalle (EMA brainstorming 2007)

- Korkean riskin kehittyneet terapiat ja teknologiat
- Kohdennetun lääkehoidon kehittäminen
 - Biomarkkerit
 - Tutkimuksen päätemuuttajat
 - Paremmat menetelmät tunnistaa potilasryhmät, joille lääkehoito tehoaa
- Adaptiivinen tutkimusasetelma

Fimean lääkeneuvola

- Lääkeneuvola antaa tietoa juridishallinnollisista (regulatorisista) ja lääkekehitykseen liittyvistä viranomaisohjeista (tieteellinen neuvonta, ohjeistot, GMP, GCP, GLP).
- Yleistä ohjausta viranomaisvaatimuksista, ei vain vastauksia esitettyihin kysymyksiin
- Relevanttien komiteoiden työryhmien edustajat saatavilla
- Yhdistetty myyntilupa- ja HTA-neuvonta?
- Keskustelevaa, ei välttämättä yksityiskohtaista pöytäkirjaa
- Tarkoitettu pienille ja keskisuurille yrityksille, varsinkin jos tuote on innovatiivinen
- Neuvolakäynnit pitäisi aloittaa mahdollisimman aikaisin – kun valmistaudutaan ei-kliinisiin tutkimuksiin
- Yhteistyö yleisellä tasolla TEKES:n kanssa
- LAP2 2011: konseptin pilotointi 1-2 firmalla

Tieteellinen neuvonta



Fimean lääkeneuvola



Fimean tieteellinen neuvonta



Euroopan lääkeviraston tieteellinen neuvonta



**Fimean missio:
Fimea valvoo ja kehittää lääkealaa
väestön terveydeksi**

