



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH



Fra laboratorium til patient: forløbet for et lægemiddel videnskabeligt vurderet af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA)

An agency of the European Union



Fra laboratorium til patient:

forløbet for et lægemiddel videnskabeligt vurderet af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA)



Denne folder omhandler lægemidler til mennesker, der godkendes via EMA gennem EU's [centrale procedure](#). Den omhandler ikke lægemidler, der godkendes gennem nationale procedurer (herunder den decentrale procedure og den gensidige anerkendelsesprocedure) af de nationale lægemiddelmyndigheder i EU's medlemsstater.

01

Forskning og udvikling

Hvem udfører indledende forskning i lægemidler?

Hvert år undersøger medicinal- og biotek-virksomheder samt læger og forskere titusinder af stoffer for at se, om de har potentiale til at behandle sygdomme. Kun et lille antal vil være lovende nok til at blive testet hos patienter, og kun en brøkdel af disse vil give studieresultater, der er gode nok til, at de kan blive bragt i omsætning.

Den indledende forskning i lægemidler udføres typisk af medicinal- og biotek-virksomheder. Nogle store virksomheder udvikler mange lægemidler, mens andre, mindre virksomheder måske kun forsker i ét eller to.

Læger og forskere udfører også forskning og kan gå sammen om at undersøge nye lægemidler eller nye anvendelser af gamle lægemidler.



Vidste du det?

Udviklere af innovative behandlinger kan drøfte de videnskabelige og juridiske aspekter af deres lægemidler med EMA tidligt i udviklingsprocessen gennem [Innovationstaskforcen](#).

I 2018 kom 9 ud af 22 anmodninger om tidlig drøftelse fra universitetsbaserede forskere eller forskergrupper.

Forskere fra offentlige institutioner og private virksomheder undersøger hvert år et stort antal stoffer for at se, om de har potentiale som lægemidler. Det er imidlertid kun en lille del af de undersøgte stoffer, der er lovende nok til, at de udvikles yderligere.

Hvordan testes potentielle nye lægemidler?

Potentielle nye lægemidler testes først i et laboratorium og derefter hos forsøgspersoner i såkaldte [kliniske studier](#). Disse test hjælper med at forstå, hvordan lægemidlerne virker, og med at vurdere fordele og bivirkninger.

Potentielle nye lægemidler testes først i et laboratorium og derefter hos forsøgspersoner i såkaldte kliniske studier. Disse test hjælper med at forstå, hvordan lægemidlerne virker, og med at vurdere fordele og bivirkninger.

Lægemiddeludviklere, der ønsker at udføre kliniske studier i EU, skal indsende ansøgninger til de nationale kompetente myndigheder i de lande, hvor de gerne vil gennemføre studierne.

EMA deltager ikke i godkendelsen af kliniske studier i EU; det er de nationale kompetente myndigheder, der står for det.

EMA, i samarbejde med EU's medlemsstater, spiller til gengæld en vigtig rolle med hensyn til at sikre at lægemiddeludviklere følger EU's og internationale

standarder. Udviklere, der gennemfører studier for at understøtte markedsføringstilladelsen for et lægemiddel i EU, skal opfylde strenge regler, uanset om studierne gennemføres i eller uden for EU. Disse regler, der kaldes [god klinisk praksis](#), omfatter studierne design samt registreringen og rapporteringen af studierne resultater. Reglerne er udarbejdet for at sikre, at studierne er videnskabeligt solide og udføres etisk forsvarligt.

Har EMA nogen indflydelse på, hvilke lægemidler der skal udvikles?

EMA kan ikke tvinge virksomheder til at forske i specifikke lægemidler til behandling af en specifik sygdom. EMA sikrer dog offentlig omtale af områder, hvor der er behov for nye lægemidler, for at tilskynde interesserede parter til at forske i dem.

EMA kan ikke sponsere lægemidler eller finansiere forskningsstudier til undersøgelse af et specifikt lægemiddel. EMA kan heller ikke tvinge virksomheder til at forske i specifikke lægemidler eller behandlinger for en specifik sygdom. Som lægemiddelmyndighed skal EMA være neutral og må ikke have økonomiske eller andre interesser i udviklingen af lægemidler.

EMA må dog gerne sikre offentlig omtale af områder, hvor der er behov for nye lægemidler, f.eks. nye antibiotika, for at tilskynde interesserede parter til at forske i dem. Desuden er der i EU-lovgivningen fastsat foranstaltninger, der tilskynder virksomheder til at udvikle [lægemidler til sjældne sygdomme](#), herunder f.eks. nedsat gebyr ved indhentning af videnskabelig rådgivning fra EMA.

EU-lovgivningen omfatter også et system med forpligtelser, belønninger og incitamenter for at tilskynde fremstillere til at forske i og udvikle [lægemidler til børn](#).

02

Videnskabelig rådgivning



Hvad er videnskabelig rådgivning?

For at et lægemiddel kan blive godkendt, skal lægemiddeludviklere påvise, at det er effektivt, sikkert og af god kvalitet.

Under udviklingen af et lægemiddel kan udvikleren anmode om rådgivning og vejledning fra EMA om de bedste metoder og studiedesign til generering af solide data om lægemidlets virkning og sikkerhed. Dette kaldes videnskabelig rådgivning.

Ved en efterfølgende ansøgning om markedsføringstilladelse fremsender udvikleren alle de genererede data om lægemidlet til EMA. EMA gennemgår disse data og vurderer, om lægemidlet er sikkert og gavnligt for patienterne.

Videnskabelig rådgivning:

- ▶ er ikke en forhåndsvurdering af fordele og risici ved lægemidlet
- ▶ garanterer ikke, at der vil blive udstedt markedsføringstilladelse for lægemidlet

Hvorfor yder EMA videnskabelig rådgivning?

EMA yder videnskabelig rådgivning for at understøtte formålstjenlig og holdbar udvikling af effektive og sikre lægemidler af høj kvalitet til gavn for patienterne.

EMA yder videnskabelig rådgivning af følgende grunde:

- ▶ Bedre designede studier vil med større sandsynlighed kunne generere solide og fuldstændige data, der kan vise, om et lægemiddel er sikkert og effektivt eller ej. Jo før det kan påvises, at et nyt lægemiddel er effektivt og sikkert, jo før kan det gøres tilgængeligt for patienterne.
- ▶ Videnskabelig rådgivning betyder, at patienterne ikke går glip af gavnlige lægemidler, blot fordi man i dårligt designede studier ikke har kunnet påvise, at et givet lægemiddel er effektivt og sikkert.



Vidste du det?

I henhold til analyser fra 2015 blev [to ud af tre udviklingsprogrammer](#), hvor der blev anmodet om videnskabelig rådgivning, vurderet uegnede til fremtidig vurdering af lægemidlets fordele og risici. Efter videnskabelig rådgivning blev 63% af disse studier ændret, så de omfattede en bedre metode til vurdering af lægemidlets virkning eller en mere velegnet komparator.

- ▶ Med bedre studiedesign kan det undgås, at patienter deltager i studier, som ikke genererer brugbar evidens.
- ▶ Mere effektiv udvikling betyder, at de begrænsede videnskabelige ressourcer, der er til rådighed, anvendes på den bedst mulige måde til gavn for patienterne.

Videnskabelig rådgivning er navnlig brugbart for lægemiddeludviklere, der kan have begrænset viden om lægemiddellovgivningen, f.eks. visse forskergrupper eller mikrovirksomheder og små og mellemstore virksomheder (SMV'er). Videnskabelig rådgivning er også relevant for innovative behandlingsformer, hvor videnskabelig vejledning endnu ikke er udviklet eller er begrænset.



Vidste du det?

*For lægemidler, der er rettet mod sygdomme, hvor der mangler tilfredsstillende behandlinger, og som har vist lovende foreløbige resultater, yder EMA ekstra regulatorisk støtte, herunder videnskabelig rådgivning ved vigtige milepæle i udviklingen, gennem et initiativ, der kaldes **PRIME** (Priority Medicines (prioriterede lægemidler)).*

Hvorfor er det en lægemiddelmyndighed, der yder videnskabelig rådgivning?

En lægemiddelmyndighed har specifik viden om og erfaring i udvikling af lægemidler efter mange års vurdering af lægemidler. Det er dens opgave at dele denne viden og fremme en mere effektiv lægemiddeludvikling til gavn for patienterne.

Yder EMA også rådgivning på andre måder?

Ja. EMA udvikler videnskabelige retningslinjer for at rådgive lægemiddeludviklere om den bedste måde at undersøge lægemidler på. Retningslinjerne vil dog i sagens natur være rettet mod generelle situationer og vil ikke dække atypiske, innovative tilgange, mens disse udvikles. Den videnskabelige rådgivning er således et supplement til og en udbygning af de eksisterende retningslinjer. Den er skræddersyet til det enkelte tilfælde, men kan senere anvendes til opdatering af retningslinjerne eller udvikling af nye retningslinjer.

I retningslinjerne findes generel rådgivning om de bedste metoder og de bedste studiedesign til udvikling af visse typer lægemidler, herunder vacciner og antibiotika, eller lægemidler mod visse sygdomme som f.eks. kræft. Retningslinjerne omhandler dog kun generelle situationer og kan ikke dække nye, innovative tilgange, mens disse er under udvikling. Desuden tager det tid at udarbejde dem.

Som supplement til retningslinjerne ydes derfor specifik videnskabelig rådgivning efter anmodning ved udvikling af individuelle lægemidler. Rådgivningen bygger på eksisterende videnskabelige retningslinjer, men skræddersys til det enkelte lægemiddel og den gruppe af patienter, der skal behandles med det.

Ved udarbejdelse og opdatering af retningslinjerne inddrages til gengæld den viden og erfaring, der er opnået ved videnskabelig rådgivning og vurdering af lægemidler, navnlig innovative lægemidler. Når et nyt endepunkt f.eks. anbefales i forbindelse med en række nylige anmodninger om videnskabelig rådgivning, revideres de relevante retningslinjer, så de også omfatter det nye endepunkt. På den måde kan den viden, der opnås ved videnskabelig rådgivning, deles med andre i forskermiljøet.

Hvordan betaler man for videnskabelig rådgivning?

Ansøgere betaler et administrationsgebyr for videnskabelig rådgivning. EMA's videnskabelige rådgivning er foreskrevet i EU-lovgivningen, der også fastsætter de administrationsgebyrer, som ansøgerne skal betale.

Gebyret nedsættes for visse typer lægemidler og ansøgere: Gebyret nedsættes med 75% for lægemidler til sjældne sygdomme, og mikrovirksomheder og små og mellemstore virksomheder (SMV'er) får en gebyrreduktion på 90%.



Vidste du det?

I 2018 blev ca. en tredjedel af de 634 gennemførte videnskabelige rådgivninger ydet til SMV'er, og en fjerdedel vedrørte lægemidler til sjældne sygdomme. Takket være de nedsatte gebyrer kan SMV'er, der er ophavsmænd til et stort antal innovative lægemidler, få adgang til videnskabelig rådgivning under deres lægemiddeludvikling.

Hvad sker der under den videnskabelige rådgivning?

Under den videnskabelige rådgivning besvarer eksperter specifikke videnskabelige spørgsmål vedrørende udviklingen af et givent lægemiddel.

Lægemiddeludvikleren fremlægger sin metode til udvikling af lægemidlet og formulerer nogle spørgsmål og mulige løsninger. Derefter rådgiver EMA udvikleren med hensyn til dennes måde at gribe tingene an på. Under den videnskabelige rådgivning evaluerer EMA på ingen måde studieresultaterne og konkluderer ikke noget om, hvorvidt fordelene ved lægemidlet opvejer risiciene.

Emnerne under den videnskabelige rådgivning kan være relateret til:

- ▶ kvalitetsaspekter (fremstilling og kemiske, farmaceutiske og biologiske test af lægemidlet)
- ▶ ikke-kliniske aspekter (toksikologiske og farmakologiske test, der er designet til at vise lægemidlets aktivitet i et laboratorium)
- ▶ kliniske aspekter (studiernes hensigtsmæssighed for patienter eller raske forsøgspersoner, valg af endepunkter (dvs. hvordan effekten måles bedst i et studie), aktiviteter efter godkendelse (herunder risikostyringsplan))
- ▶ metodemæssige spørgsmål (statistiske test, der bør anvendes, dataanalyse, modellering og simulering).

Eksempler på spørgsmål, der drøftes under den videnskabelige rådgivning

- ▶ Er de patienter, der skal inkluderes i studiet, tilstrækkeligt repræsentative for den population, som lægemidlet er beregnet til?
- ▶ Er de planlagte foranstaltninger til vurdering af fordelene ved lægemidlet valide og relevante?
- ▶ Er den fremlagte plan til analyse af resultaterne hensigtsmæssig?
- ▶ Varer studiet længe nok, og inkluderer det et tilstrækkeligt antal patienter til at fremskaffe de nødvendige data til vurdering af benefit/risk-forholdet?
- ▶ Sammenlignes lægemidlet med et relevant alternativ?
- ▶ Er planerne for opfølgning på den langsigtede sikkerhed ved lægemidlet hensigtsmæssigt designet?

Hvem er involveret i den videnskabelige rådgivning?

En lang række eksperter inden for forskellige fagområder er involveret i at besvare de spørgsmål, der bliver stillet.

Hos EMA er det Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), der er ansvarlig for at vurdere ansøgninger om markedsføringstilladelse. En af udvalgets opgaver er at understøtte forskning og udvikling ved at yde videnskabelig rådgivning; udvalget overdrager denne opgave til EMA's arbejdsgruppe vedrørende videnskabelig rådgivning. Svarene på de spørgsmål, som udvikleren stiller, udarbejdes af arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning, hvorefter den endelige rådgivning formelt vedtages og fremsættes af CHMP.

Arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning har op til 36 medlemmer, der er eksperter fra lægemiddelmyndigheder i hele EU, fra forskermiljøet og fra en række EMA-udvalg, nemlig Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme (COMP), Udvalget for Avancerede Terapier (CAT), Det Pædiatriske Udvalg (PDCO) og Udvalget for Risikovurdering inden for Lægemiddelovervågning (PRAC). Ca. en femtedel af arbejdsgruppens medlemmer er også medlemmer af CHMP. Med dette overlap kan den langsigtede viden og ekspertise vedrørende et givet lægemiddel, der er opnået i forbindelse med den videnskabelige rådgivning, blive inddraget ved CHMP's senere vurdering af ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Ekspertiseområdet hos medlemmerne i arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning omfatter ikke-klinisk sikkerhed, farmakokinetik, metode og statistik, gen- og celleterapi samt de terapeutiske områder, hvor der ofte anmodes om videnskabelig rådgivning, f.eks. kardiologi, onkologi, diabetes, neurodegenerative forstyrrelser og infektionssygdomme.



Vidste du det?

I 2018 involverede én ud af fem videnskabelige rådgivninger patienter, og medlemmerne af arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning vurderede, at patienterne i næsten alle tilfælde (ca. 90%) tilføjede merværdi til den videnskabelige rådgivning. I ca. ét ud af fire tilfælde blev det i den videnskabelige rådgivning anbefalet, at udviklingsplanen skulle ændres, så den afspejlede rådene fra patienterne.

Involveres patienter i den videnskabelige rådgivning?

Den videnskabelige rådgivning involverer ofte patienter. De opfordres til at dele deres personlige oplevelse af og erfaring med et specifikt lægemiddel inden for deres sygdomsområde. Det kan give lægemiddeludviklere og myndigheder en bedre forståelse af, hvad der virker for den patientgruppe, og hvad der er vigtigt for patienterne.

Yderligere eksterne eksperter kan også blive hørt for at udvide den pulje af ekspertise, som arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning kan trække på.

Har EMA's videnskabelige rådgivning nogen betydning for agenturets vurdering af et lægemiddel?

Videnskabelig rådgivning og vurdering af fordele og risici ved et lægemiddel er to forskellige ting: Ved videnskabelig rådgivning ser man på, hvordan et lægemiddel bør undersøges for at fremskaffe solid evidens, mens man ved vurderingen af et lægemiddel i forbindelse med ansøgning om markedsføringstilladelse ser på den konkrete evidens, som studierne har tilvejebragt, for at afgøre, om lægemidlets fordele opvejer risiciene, uanset hvilken rådgivning der er givet tidligere.



Vidste du det?

Hvis den videnskabelige rådgivning følges, øges chancerne for at opnå markedsføringstilladelse, men der er ingen garanti. En analyse fra 2015 viser, at [15% af de virksomheder](#), der fulgte EMA's videnskabelige rådgivning, fik en negativ udtalelse i forbindelse med deres ansøgning om markedsføringstilladelse, sammenholdt med en generel procentdel på 25%.

De spørgsmål, der rejses under videnskabelig rådgivning og ved vurdering af et lægemiddel, er grundlæggende forskellige: ved videnskabelig rådgivning ser man på spørgsmål, der vedrører den bedste metode til at teste og undersøge et lægemiddel. Ved vurdering af et lægemiddel ser CHMP på resultaterne af studierne og afgør på den baggrund, om fordelene ved lægemidlet opvejer risiciene, og om det således kan godkendes til anvendelse hos patienter.

Når der er givet videnskabelig rådgivning, bør det være lettere og hurtigere at vurdere et lægemiddel, fordi den evidens, der genereres, typisk vil være mere solid, relevant og fyldestgørende. Men det gør ikke EMA's vurdering af sikkerhed og virkning mindre stringent og betyder ikke, at lægemidlet automatisk bliver godkendt. Bedre evidens gør det lettere at vurdere benefit/risk-forholdet, men medfører ikke nødvendigvis, at lægemidlet godkendes. Med bedre evidens kan det tydeligere ses, om et lægemiddel er skadeligt eller ikke har nogen effekt. Lægemiddeludviklere, der har fået videnskabelig rådgivning og fulgt rådene, kan godt få afvist en ansøgning om markedsføringstilladelse alligevel. På samme måde kan lægemiddeludviklere, der ikke har fulgt rådene, godt opnå godkendelse alligevel.

Mens disse processers anvendelsesområde er veldefineret, er den langsigtede viden og ekspertise om lægemidlet, der indhentes under den videnskabelige rådgivning, nyttig med henblik på at opnå en bedre forståelse af lægemidlet, og den vil blive inddraget ved vurdering af ansøgningen om markedsføringstilladelse.

I begge processer tages alle beslutninger kollegialt på grundlag af omfattende drøftelser og høringer. Intet enkeltstående medlem af arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning eller CHMP kan tvinge en beslutning i en bestemt retning; den skal træffes ved flertalsafgørelse.

Hvad offentliggør EMA om udfaldet af videnskabelig rådgivning?

I udviklings- og vurderingsfasen offentliggøres den detaljerede rådgivning, som en virksomhed får, ikke. Det skyldes, at videregivelse af oplysninger i denne fase kan underminere aktiviteterne inden for forskning og udvikling og dermed gå ud over forskningen i nye lægemidler.

Oplysningerne gøres dog tilgængelige, så snart der er udstedt markedsføringstilladelse for et lægemiddel.

I juni 2018 begyndte EMA at offentliggøre mere detaljerede oplysninger om den videnskabelige rådgivning, der ydes under lægemiddeludvikling, i vurderingsrapporten for lægemidler, der har fået EMA's PRIME-støtte (dvs. lægemidler rettet mod sygdomme, hvor der mangler tilfredsstillende behandlinger, og som har vist lovende foreløbige resultater), og dette initiativ er blevet implementeret for alle lægemidler med vurderingsrapporter, der er afsluttet efter 1. januar 2019.

En oversigt over udviklerens spørgsmål er således medtaget i starten af vurderingsrapporten, og rådgivningens hovedelementer kan findes i de relevante afsnit i rapporten. Desuden er der angivet oplysninger om, i hvilken udstrækning virksomheden har fulgt rådene.

Vurderingsrapporter for lægemidler offentliggøres på EMA's hjemmeside, så snart Europa-Kommissionen har truffet en endelig afgørelse om markedsføringstilladelse.

Rådgivningen i sin helhed kan desuden gøres tilgængelig på anmodning.

Videnskabelig rådgivning udgør en af de vigtigste kilder ved opdatering af EMA's videnskabelige retningslinjer for lægemiddeludvikling. De sygdomsspecifikke retningslinjer opdateres regelmæssigt for at indarbejde den viden og erfaring, der er opnået gennem videnskabelig rådgivning og lægemiddelvurdering. På den måde bliver resultaterne af videnskabelig rådgivning tilgængelige for alle.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre eksperternes uafhængighed i forbindelse med videnskabelig rådgivning?

EMA kontrollerer den enkelte eksperts interesseerklæring forud for dennes inddragelse i videnskabelig rådgivning, og der pålægges restriktioner, hvis en eller flere interesser vurderes at kunne påvirke uvildigheden.

[EMA's politik for håndtering af modstridende interesser](#) er udarbejdet for at begrænse inddragelsen af medlemmer, eksperter og personale med mulige modstridende interesser i agenturets arbejde og samtidig fastholde EMA's mulighed til at få adgang til den bedst tilgængelige ekspertise.

Medlemmer af arbejdsgruppen vedrørende videnskabelig rådgivning og andre involverede eksperter fremsender en interesseerklæring forud for eventuel inddragelse i EMA's aktiviteter.

Agenturet tildeler hver interesseerklæring et risikoniveau baseret på, om den pågældende ekspert har nogen direkte eller indirekte interesser (økonomiske eller andet), der kan påvirke uvildigheden. Inden påbegyndelsen af en ny videnskabelig rådgivningsprocedure tjekker EMA interesseerklæringen fra hvert enkelt medlem eller ekspert, og hvis der afdækkes en modstridende interesse, vil vedkommende have begrænsede rettigheder.

Restriktionerne kan f.eks. indebære, at vedkommende ikke må være med til at drøfte eller stemme om et bestemt emne.

Videnskabelig rådgivning — oplysninger om processen

To eksperter, understøttet af uafhængige team, foretager separate vurderinger; yderligere eksperter og interessenter vil ofte blive hørt.



03

Vurdering

Hvad sker der, før en lægemiddelvurdering påbegyndes?

Et par måneder inden vurderingen påbegyndes, giver EMA vejledning til lægemiddeludviklerne for at sikre, at deres ansøgninger om markedsføringstilladelse opfylder gældende love og bestemmelser, så unødige forsinkelser kan undgås.

For at opnå markedsføringstilladelse skal lægemiddeludviklere fremsende specifikke data om deres lægemiddel. Derefter foretager EMA en grundig vurdering af disse data for at afgøre, om lægemidlet er sikkert, effektivt og af god kvalitet og dermed velegnet til anvendelse hos patienter.

EMA giver [vejledning](#) til virksomhederne om, hvilken type oplysninger der skal indgå i en ansøgning om markedsføringstilladelse.

Ca. 6-7 måneder inden indsendelse af en ansøgning kan lægemiddeludviklere mødes med EMA for at sikre, at deres ansøgning opfylder gældende love og bestemmelser. Ansøgningen skal omfatte alle de forskellige aspekter, der er påkrævet i henhold til [EU-lovgivningen](#), så det kan påvises, at lægemidlet virker efter hensigten.

Disse møder involverer en række EMA-medarbejdere, der er ansvarlige inden for forskellige områder, herunder kvalitet, sikkerhed og virkning, risikostyring

eller pædiatriske aspekter, og som vil følge ansøgningen gennem hele vurderingsproceduren.

EMA opfordrer udviklere til at anmode om disse forudgående møder inden ansøgningsindsendelse, da deres formål er at øge kvaliteten af ansøgningerne og dermed undgå unødige forsinkelser.

Hvem bærer udgifterne til lægemiddelvurdering?

EU-lovgivningen foreskriver, at lægemiddelvirksomhederne skal være med til at betale udgifterne til regulering af lægemidler. Da virksomhederne tjener penge på at sælge lægemidler, er det rimeligt, at de bærer de fleste af udgifterne til reguleringen af dem. Det betyder, at EU's skatteborgere ikke skal betale alle udgifterne til sikring af lægemidlers sikkerhed og virkning.

Virksomhederne foretager forudbetaling af et administrationsgebyr, inden EMA's vurdering påbegyndes. Det administrationsgebyr, der skal betales for den enkelte procedure, er fastsat i EU-lovgivningen.

Hvilke oplysninger skal indgå i en ansøgning om markedsføringstilladelse?

De data, som lægemiddeludviklere medsender i en ansøgning om markedsføringstilladelse, skal opfylde kravene i EU-lovgivningen. Dataene skal omfatte en række oplysninger om f.eks. fremstillingsmetode, lægemidlets effekt i laboratorieundersøgelser, fordele og bivirkninger observeret hos patienter, risikostyring samt den påtænkte information til patienter og læger.

De data, der fremsendes i en ansøgning om markedsføringstilladelse, skal indeholde oplysninger om følgende:

- ▶ hvilken gruppe patienter lægemidlet er rettet mod, og om lægemidlet vil kunne dække et uopfyldt medicinsk behov
- ▶ lægemidlets kvalitet, herunder kemiske og fysiske egenskaber som f.eks. stabilitet, renhed og biologisk aktivitet
- ▶ opfyldelse af internationale krav til laboratorietest, lægemiddelfremstilling og udførelse af kliniske studier ("[god laboratoriepraksis](#)", "[god klinisk praksis](#)" og "[god fremstillingspraksis](#)")
- ▶ lægemidlets virkningsmekanisme i henhold til laboratorieundersøgelser
- ▶ hvordan lægemidlet fordeles i og udskilles fra kroppen
- ▶ hvilke fordele der er observeret hos den gruppe patienter, som lægemidlet er rettet mod
- ▶ hvilke bivirkninger ved lægemidlet der er observeret hos patienter, herunder hos særlige populationer som f.eks. børn og ældre
- ▶ hvordan risici vil blive håndteret og overvåget, når lægemidlet er blevet godkendt
- ▶ hvilke oplysninger der skal indsamles fra opfølgingsstudier efter lægemidlets godkendelse.

Information om mulige (kendte eller potentielle) sikkerhedsmæssige betænkeligheder ved

lægemidlet, hvordan risici vil blive håndteret og overvåget efter lægemidlets godkendelse, og hvilke oplysninger der skal indsamles fra opfølgingsstudier efter godkendelsen, angives nærmere i en risikostyringsplan. Risikostyringsplanen vurderes af EMA's Udvalg for Risikovurdering inden for Lægemiddelovervågning ([PRAC](#)) så det sikres, at den er hensigtsmæssig.

Den information, som patienter og sundhedspersonale får udleveret (i form af produktresumé, etikettering og indlægsseddel), skal også fremsendes af udvikleren og vil blive gennemgået og godkendt af CHMP.

Hvor kommer dataene fra?

Størstedelen af den evidens, der indsamles for et lægemiddel, mens det er under udvikling, kommer fra studier finansieret af lægemiddeludvikleren. Andre tilgængelige data om lægemidlet (f.eks. fra eksisterende studier i den medicinske litteratur) skal også fremsendes af ansøgeren, så de kan blive vurderet.

Studier, der understøtter ansøgningen om markedsføringstilladelse for et lægemiddel, skal opfylde strenge regler og udføres i henhold til lovens bestemmelser. Internationale standarder, der kaldes [god klinisk praksis](#), finder anvendelse på studiets design, registrering og rapportering for at sikre, at studierne er videnskabeligt solide og udføres etisk forsvarligt. Den type evidens, der er nødvendig for at kunne påvise et lægemiddels fordele og risici, er defineret i EU-lovgivningen, som skal overholdes af lægemiddeludviklere. EMA kan bede om gennemførelse af inspektioner for at kontrollere, om disse standarder overholdes.

EMA understøtter studier af høj kvalitet gennem initiativer som f.eks. [Enpr-EMA](#) og [ENCePP](#), som samler ekspertise fra uafhængige forskercentre i hele Europa. Takket være disse initiativer kan yderligere kilder til evidens supplere den evidens, som lægemiddeludviklere fremlægger, navnlig i forbindelse med løbende sikkerhedsovervågning af et lægemiddel efter dets godkendelse.

Hvad ses der primært på, når et lægemiddel skal vurderes?

Ved vurdering af et lægemiddel ses der primært på balancen mellem fordele og risici ved lægemidlet. Et lægemiddel kan kun blive godkendt, hvis fordelene ved lægemidlet opvejer risiciene.

Alle lægemidler har fordele og risici. Ved vurdering af den evidens, der er indsamlet for et lægemiddel, afgør EMA, om fordelene ved lægemidlet opvejer risiciene hos den gruppe patienter, som lægemidlet er tiltænkt.

Da man desuden ikke ved alt om et lægemiddels sikkerhed på tidspunktet for den indledende godkendelse, er den måde, hvorpå [risiciene vil blive minimeret](#), håndteret og overvåget, når anvendelsen af lægemidlet er blevet mere udbredt, også en integreret del af vurderingen, idet den fastlægges på tidspunktet for godkendelse.

Godkendelsen af et lægemiddel er baseret på en overordnet positiv balance mellem fordele og risici på populationsniveau. Alle patienter er imidlertid forskellige, så før et lægemiddel tages i brug, bør læge og patient vurdere, om det er den rigtige behandling for patienten, på baggrund af de tilgængelige oplysninger om lægemidlet og patientens specifikke situation.



Vidste du det?

I nogle tilfælde, f.eks. hvis et lægemiddel skal anvendes til behandling af en [livstruende sygdom](#), hvor der ellers ikke findes nogen tilfredsstillende behandlinger, eller hvis [målsydommen er meget sjælden](#), kan EMA anbefale udstedelse af markedsføringstilladelse på grundlag af begrænset eller mindre fyldestgørende evidens, forudsat at der fremskaffes flere data på et senere stadie.

Som ved alle andre markedsføringstilladelser skal det dog stadig påvises, at fordelene ved lægemidlet opvejer risiciene.

Hvem er involveret i vurderingen af ansøgninger om markedsføringstilladelse?

Et ekspertudvalg (CHMP) vurderer ansøgningerne. Udvalgets medlemmer understøttes hver især af et konsulentteam.

EMA's [Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler](#) (CHMP) vurderer ansøgninger, der indsendes af lægemiddeludviklere, og fremsætter en anbefaling om, hvorvidt der bør udstedes markedsføringstilladelse for et lægemiddel eller ej. Udvalget er sammensat af ét medlem plus en suppleant fra hver af EU's medlemsstater samt Island og Norge. Det har også op til fem EU-eksperter inden for relevante områder som f.eks. statistik og lægemiddelkvalitet, der er udpeget af Europa-Kommissionen.

Når CHMP foretager en vurdering, understøttes udvalgets medlemmer hver især af et team af konsulenter fra de nationale myndigheder, der har ekspertise inden for forskellige områder, og som vil se på de forskellige aspekter af lægemidlet, herunder sikkerhed, kvalitet og virkningsmekanisme.

CHMP samarbejder også med andre EMA-udvalg i forbindelse med vurderingen. Disse omfatter: [CAT](#), der står i spidsen ved vurdering af lægemidler til avancerede terapier (genterapi, vævsteknologi og cellebaserede lægemidler), [PRAC](#), der vurderer aspekter relateret til lægemidlers sikkerhed og risikostyring, [PDCO](#), der vurderer aspekter relateret til anvendelse af lægemidler hos børn, og [COMP](#), der vurderer aspekter vedrørende lægemidler til sjældne sygdomme.

Hvordan fungerer CHMP?

Fagfælleevaluering og kollegiale beslutninger spiller en central rolle i CHMP's vurderinger.

For hver ansøgning om godkendelse af et nyt lægemiddel bliver to udvalgsmedlemmer (en rapportør og en medrapportør) fra forskellige lande udpeget til at lede vurderingen (ved generiske lægemidler udpeges der kun én rapportør). De udpeges i henhold til objektive kriterier, så den tilgængelige ekspertise i EU udnyttes optimalt.

Rapportørens og medrapportørens opgave er at gennemføre en videnskabelig vurdering af lægemidlet uafhængigt af hinanden. De opretter hver især et team af konsulenter fra deres egen nationale myndighed og indimellem fra andre nationale myndigheder.

I sin vurderingsrapport opsummerer det enkelte team dataene fra ansøgningen, angiver sin vurdering af lægemidlets effekt og sin holdning til eventuelle datamæssige betænkeligheder eller begrænsninger. De fremsætter også spørgsmål, som ansøgeren skal svare på. I de to separate vurderinger tages der hensyn til gældende love og bestemmelser, relevante videnskabelige retningslinjer og erfaringen fra vurdering af tilsvarende lægemidler.

Ud over rapportøren og medrapportøren udpeger CHMP også en eller flere fagfællebedømmere blandt sine medlemmer. En fagfællebedømmers opgave er at se på den måde, hvorpå de to vurderinger er udført, og sikre, at de videnskabelige argumenter er holdbare, klare og solide.

Alle CHMP's medlemmer bidrager også aktivt til vurderingsprocessen ved at drøfte relevante spørgsmål med kolleger og eksperter i deres nationale myndigheder. De gennemgår rapportørernes vurderinger, fremsætter kommentarer og formulerer yderligere spørgsmål, som ansøgeren skal svare på. Den indledende vurdering og kommentarerne fra fagfællebedømmere og andre udvalgsmedlemmer drøftes derefter på et plenarmøde i CHMP.

I forbindelse med drøftelserne, og efterhånden som der fremkommer nye oplysninger i løbet af vurderingsprocessen fra yderligere eksperter eller ved præciseringer fra ansøgeren, skærpes de videnskabelige argumenter, så der kan formuleres en endelig anbefaling, der repræsenterer udvalgets analyse og mening om dataene. Nogle gange kan dette f.eks. betyde, at udvalgets syn på benefit/riskforholdet for et lægemiddel kan ændre sig i løbet af vurderingsprocessen og divergere fra rapportørernes indledende vurderinger.

Kan CHMP bede om flere oplysninger under evalueringen?

Under evalueringen stiller CHMP spørgsmål vedrørende den evidens, der er anført i ansøgningen, og beder ansøgeren om at komme med præciseringer eller supplerende analyser for at svare på disse spørgsmål. Svarene skal fremsættes inden for en aftalt frist.

CHMP kan komme med indvendinger eller fremsætte betænkeligheder vedrørende alle aspekter af lægemidlet. Hvis større indvendinger ikke imødekommes, kan der ikke udstedes markedsføringstilladelse.

Større indvendinger kan f.eks. vedrøre den måde, hvorpå lægemidlet er blevet undersøgt, fremstillingsmetoden eller effekten hos patienter, hvad angår f.eks. fordelenes omfang eller bivirkningernes sværhedsgrad.

Hvilken yderligere ekspertise kan CHMP trække på?

Ekspertes med specialiseret faglig viden eller klinisk erfaring vil ofte blive hørt i forbindelse med vurderingen for at fremme de videnskabelige drøftelser.

Yderligere eksperter kan når som helst under vurderingen blive indkaldt af CHMP for at rådgive om specifikke spørgsmål, der rejses i løbet af vurderingen.

CHMP kan anmode om støtte fra og stille specifikke spørgsmål til sine [arbejdsgrupper](#), der har ekspertise inden for et specifikt felt som f.eks. biostatistik eller inden for et specifikt behandlingsområde som f.eks. kræftbehandling. Medlemmerne af EMA's arbejdsgrupper har stor viden om den seneste videnskabelige udvikling inden for deres felt.

Udvalget kan også trække på eksterne eksperter gennem sine [videnskabelige rådgivende grupper](#) eller ad hoc-ekspertgrupper. Disse grupper, der omfatter sundhedspersoner og patienter, anmodes om at besvare specifikke spørgsmål om den potentielle anvendelse og værdi af lægemidlet i klinisk praksis.



Vidste du det?

EMA udveksler regelmæssigt synspunkter om igangværende lægemiddelvurderinger med andre lægemiddelmyndigheder, f.eks. de amerikanske lægemiddelmyndigheder (FDA), de canadiske lægemiddelmyndigheder (Health Canada) og de japanske lægemiddelmyndigheder (PMDA). Disse [drøftelser](#) kan f.eks. vedrøre kliniske og statistiske problemstillinger, strategier til risikostyring og studier, der skal gennemføres efter lægemidlets godkendelse.

Hvordan involveres patienter og sundhedspersoner?

Patienter og sundhedspersoner kender problemerne "indefra". De høres derfor som eksperter og siger deres mening om, hvorvidt lægemidlet kan dække deres behov.

Patienter og sundhedspersoner opfordres til at deltage som eksperter i videnskabelige rådgivende grupper eller ad hoc-ekspertgrupper. Patienter deltager i drøftelserne ved f.eks. at fortælle om deres erfaring med sygdommen, om deres behov og om, hvilke risici de ville anse for at være acceptable i forhold til de forventede fordele. Sundhedspersoner kan fortælle om patientgrupper med uopfyldte behov eller gennemførligheden af de foreslåede foranstaltninger til minimering af risikoen ved lægemidlet i klinisk praksis.

Derudover kan individuelle patienter blive opfordret til at deltage i CHMP's plenarmøde, enten via personligt fremmøde, telekonference eller skriftligt indlæg (resultatet af et [pilotprojekt](#) kan findes på EMA's hjemmeside).



Vidste du det?

I 2018 var patienter og sundhedspersoner involveret i vurderingen af ca. ét ud af fire nye lægemidler (eksklusive generiske lægemidler).



Vidste du det?

Eksterne eksperter høres i ca. en fjerdedel af vurderingerne af nye lægemidler (eksklusive generiske lægemidler).

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre eksperternes uafhængighed?

Uafhængigheden sikres ved et højt niveau af gennemsigtighed og anvendelse af restriktioner, hvis bestemte interesser vurderes at kunne påvirke uvildigheden.

[EMA's politik for håndtering af modstridende interesser](#) er udarbejdet for at begrænse inddragelsen af medlemmer, eksperter og personale med mulige modstridende interesser i agenturets arbejde og samtidig fastholde EMA's mulighed til at få adgang til den bedst tilgængelige ekspertise.

Medlemmer og eksperter i udvalg, arbejdsgrupper og videnskabelige rådgivende grupper eller ad hoc-ekspertgrupper fremsender en interesseerklæring, inden de eventuelt inddrages i EMA's aktiviteter.

Agenturet tildeler hver interesseerklæring et risikoniveau baseret på, om den pågældende ekspert har nogen direkte eller indirekte interesser (økonomiske eller andet), der kan påvirke uvildigheden. Inden inddragelse i en specifik EMA-aktivitet tjekker EMA interesseerklæringen. Hvis der afdækkes modstridende interesser, vil medlemmets eller ekspertens rettigheder blive begrænset.

Restriktionerne kan f.eks. indebære, at vedkommende ikke må være med til at drøfte eller stemme om et bestemt emne. Medlemmers og eksperters interesseerklæringer samt oplysning om, hvilke restriktioner der har fundet anvendelse

på videnskabelige udvalgsmøder, er offentligt tilgængelige i [mødereferaterne](#).

Reglerne for eksperter, der er medlemmer af videnskabelige udvalg, er strengere end for eksperter, der deltager i rådgivende grupper og ad hoc-ekspertgrupper. På den måde kan EMA trække på den bedste ekspertise i de rådgivende grupper for at indsamle så relevant og fyldestgørende information som muligt, og anvende strengere regler, når der er tale om selve beslutningsprocessen.

På samme måde er kravene til formænd og medlemmer med en ledende rolle, f.eks. rapportører, strengere end kravene til andre udvalgsmedlemmer.

Desuden skal medlemmer af udvalg, arbejdsgrupper, videnskabelige rådgivende grupper (og eksperter, der deltager i disse møder) samt EMA's personale overholde principperne i [EMA's adfærdskodeks](#).

Hvordan når CHMP frem til sin endelige anbefaling?

CHMP når frem til sin endelige anbefaling ved en formel afstemning. Ideelt set når CHMP frem til en konsensus, så det enstemmigt kan anbefales, om en ansøgning om markedsføringstilladelse bør godkendes eller afvises; en sådan konsensus nås i 90% af tilfældene. Hvis der imidlertid ikke kan nås en endelig anbefaling ved konsensus, vil udvalgets endelige anbefaling repræsentere flertallets holdning.



Vidste du det?

[Interesseerklæringer](#) fra alle eksperter, herunder patienter og sundhedspersoner, der deltager i EMA's aktiviteter, offentliggøres på EMA's hjemmeside. EMA offentliggør også [årlige rapporter](#) om sin uafhængighed med angivelse af fakta og tal for erklærede interesser og deraf følgende restriktioner.

Hvilke oplysninger er offentligt tilgængelige under vurderingen af et nyt lægemiddel, og når der er truffet en afgørelse?

EMA sikrer et højt niveau af gennemsigtighed i sin lægemiddelvurdering ved at offentliggøre mødedagsordener og -referater, rapporter, der beskriver, hvordan et lægemiddel er blevet vurderet, samt de kliniske studieresultater, som lægemiddeludviklerne har fremsendt i deres ansøgninger.

Listen over nye lægemidler, der er ved at blive vurderet af CHMP, er tilgængelig på EMA's hjemmeside og [opdateres](#) hver måned.

EMA [offentliggør](#) også alle udvalgmødernes dagsordener og referater, hvor der kan findes oplysninger om vurderingens stadie.

Når der er truffet afgørelse om, hvorvidt en ansøgning om markedsføringstilladelse skal godkendes eller afvises, offentliggør EMA et omfattende sæt dokumenter, der kaldes [den europæiske offentlige vurderingsrapport](#) (EPAR). Heri er indbefattet CHMP's offentlige vurderingsrapport, der giver en detaljeret beskrivelse af de gennemgåede data og af, hvorfor CHMP har anbefalet godkendelse eller afvisning af ansøgningen.

For ansøgninger, der er modtaget efter den 1. januar 2015, offentliggør EMA også de kliniske studieresultater, som lægemiddeludviklere har fremsendt til støtte for deres ansøgninger om markedsføringstilladelse. For ældre ansøgninger kan de kliniske studieresultater indhentes gennem en [anmodning om at få adgang til dokumentet](#).

Detaljerede oplysninger om, hvad EMA offentliggør (og hvornår) om humanmedicinske lægemidler fra den tidlige udvikling til den indledende vurdering og eventuelle ændringer efter godkendelse, kan findes i [Guide to information on human medicines evaluated by EMA](#) (vejledning i indhentning af oplysninger om humanmedicinske lægemidler, der er vurderet af EMA).



Vidste du det?

Pr. oktober 2018 har EMA offentliggjort de kliniske studieresultater, som lægemiddeludviklere har indsendt i deres ansøgninger, for over 100 nyligt EMA-vurderede lægemidler. Resultaterne er tilgængelige for offentligheden på EMA's dedikerede [hjemmeside](#) om kliniske data.

Kalender for vurderingen af et lægemiddel

Vurderingen af en ansøgning om markedsføringstilladelse af et nyt lægemiddel tager op til 210 "aktive" dage. Den aktive vurderingsperiode er den tid, det tager for EMA's eksperter at vurdere den evidens, som ansøgeren har fremsendt til støtte for sin ansøgning om markedsføringstilladelse. Denne periode afbrydes af én eller to "pauser", hvor ansøgeren udarbejder svar til eventuelle spørgsmål fra CHMP. Den maksimale varighed af en sådan pause afhænger af, hvor lang tid ansøgeren mener, det vil tage at svare, men pausens varighed skal aftales med CHMP. Den første pause vil typisk vare 3-6 måneder og den anden 1-2 måneder. Samlet set varer vurderingen af nyt lægemiddel typisk ca. et år.



Vidste du det?

Vurderingsperioden kan blive reduceret til 150 dage i stedet for 210 dage, hvis lægemidlet får tildelt "*fremskyndet vurdering*". Dette gælder lægemidler, der anses for at være af særlig interesse for folkesundheden, f.eks. lægemidler, der er rettet mod en sygdom, hvor der endnu ikke findes nogen behandling, og som har potentiale til at dække det uopfyldte medicinske behov.

Indledende vurdering og liste med spørgsmål

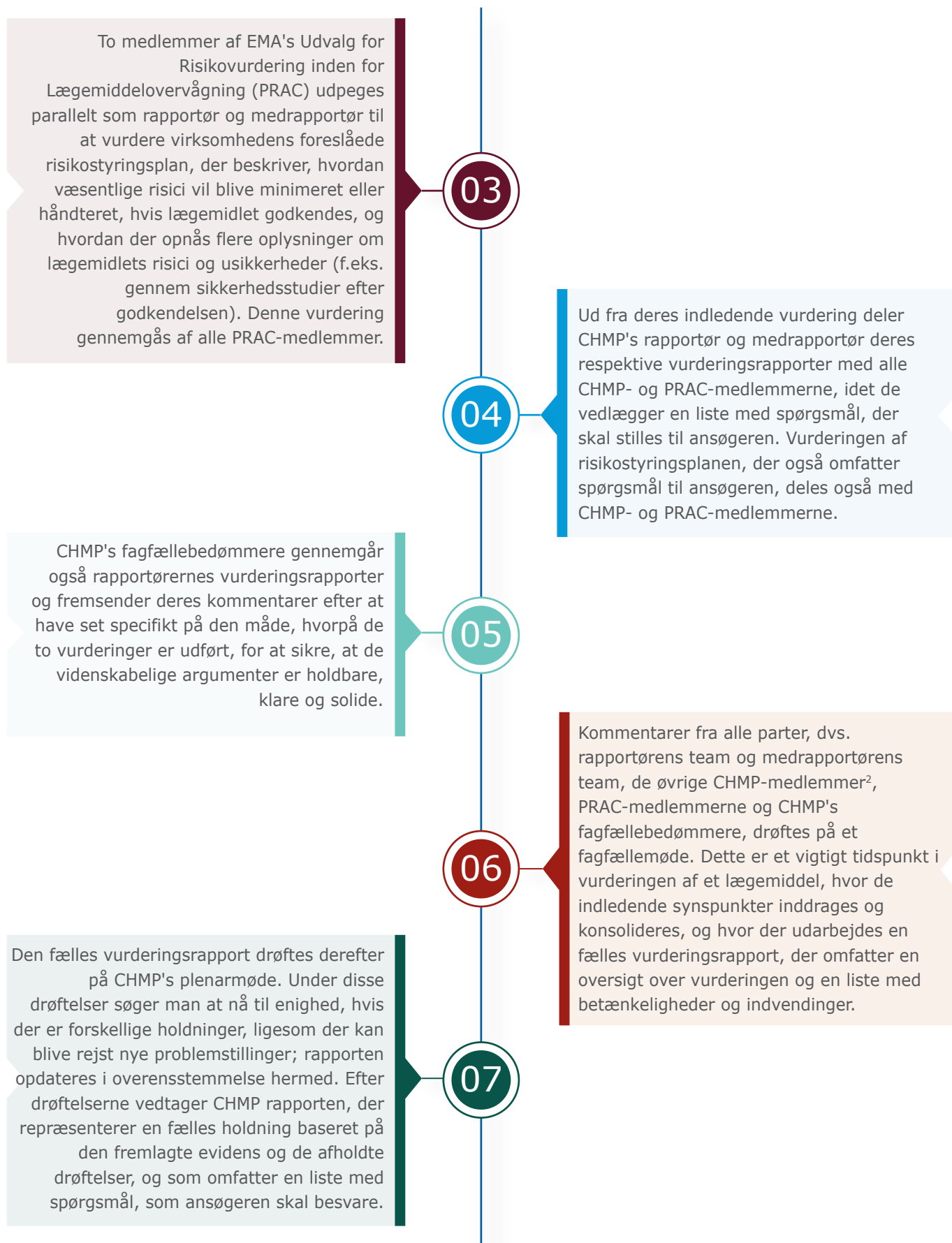
De team, som CHMP's rapportør og medrapportør har oprettet¹, vurderer hver især den fremlagte evidens vedrørende lægemidlet og udarbejder deres vurderingsrapporter uafhængigt af hinanden, hvori de beskriver eventuelle problemstillinger eller betænkeligheder, som ansøgeren skal forholde sig til.

01

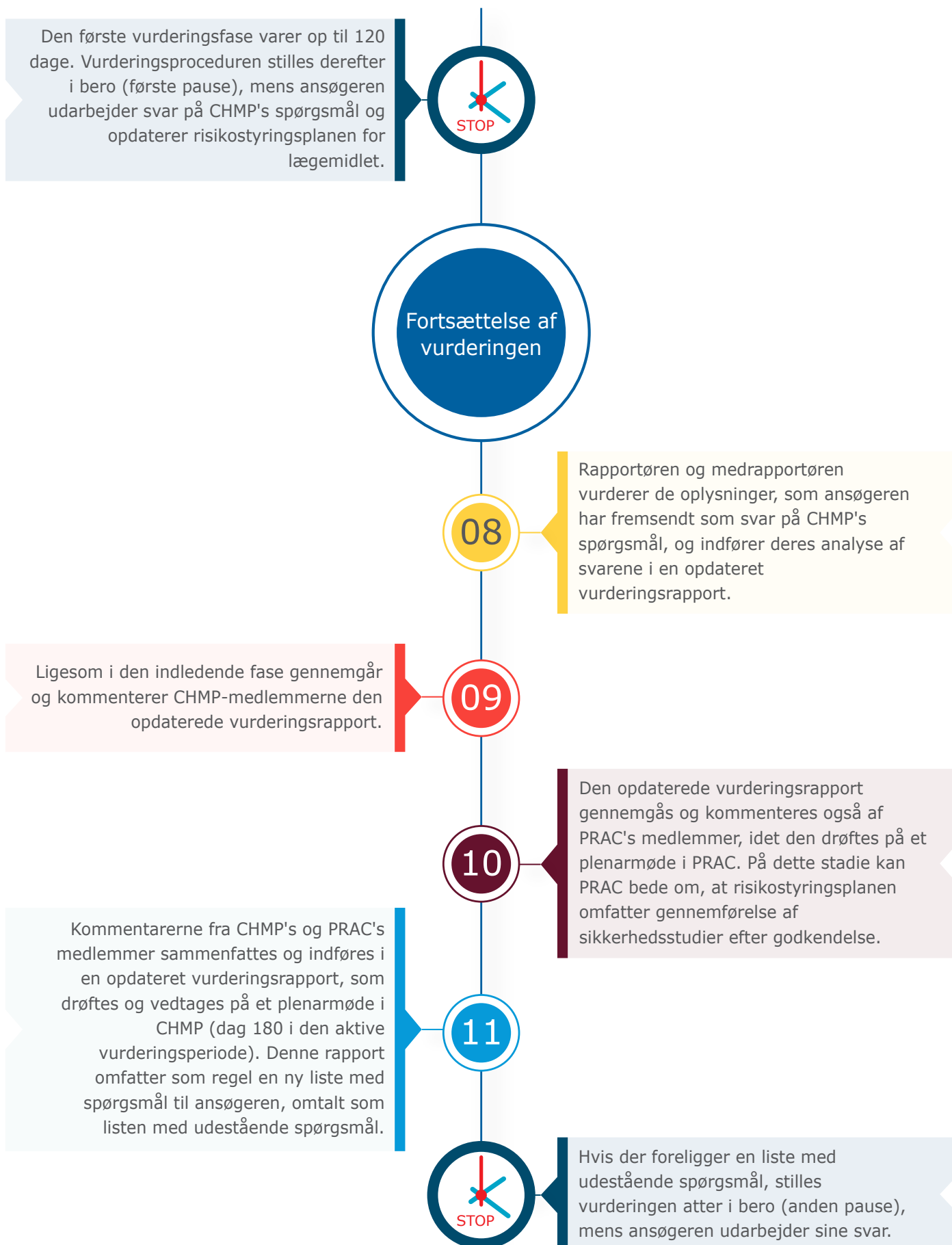
02

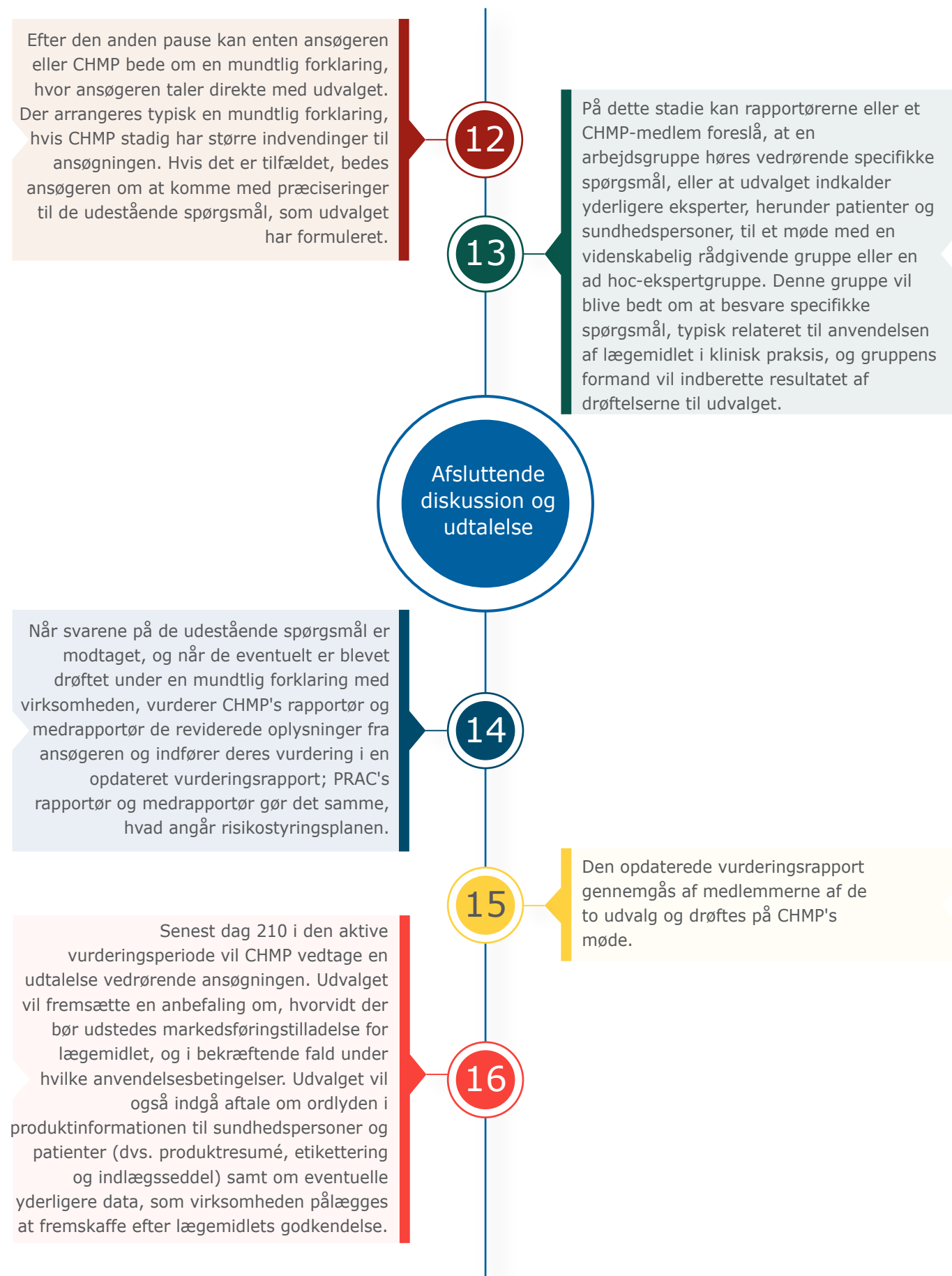
På dette stadie kan rapportørerne anbefale, at der foretages inspektion af fremstillingsstedet for lægemidlet, af forsøgscentret for et ikke-klinisk eller klinisk studie eller af de procedurer for lægemiddelovervågning, der er beskrevet i ansøgningen. Hvis det støttes af udvalget, vil inspektionen blive udført af inspektører fra de nationale myndigheder i EU.

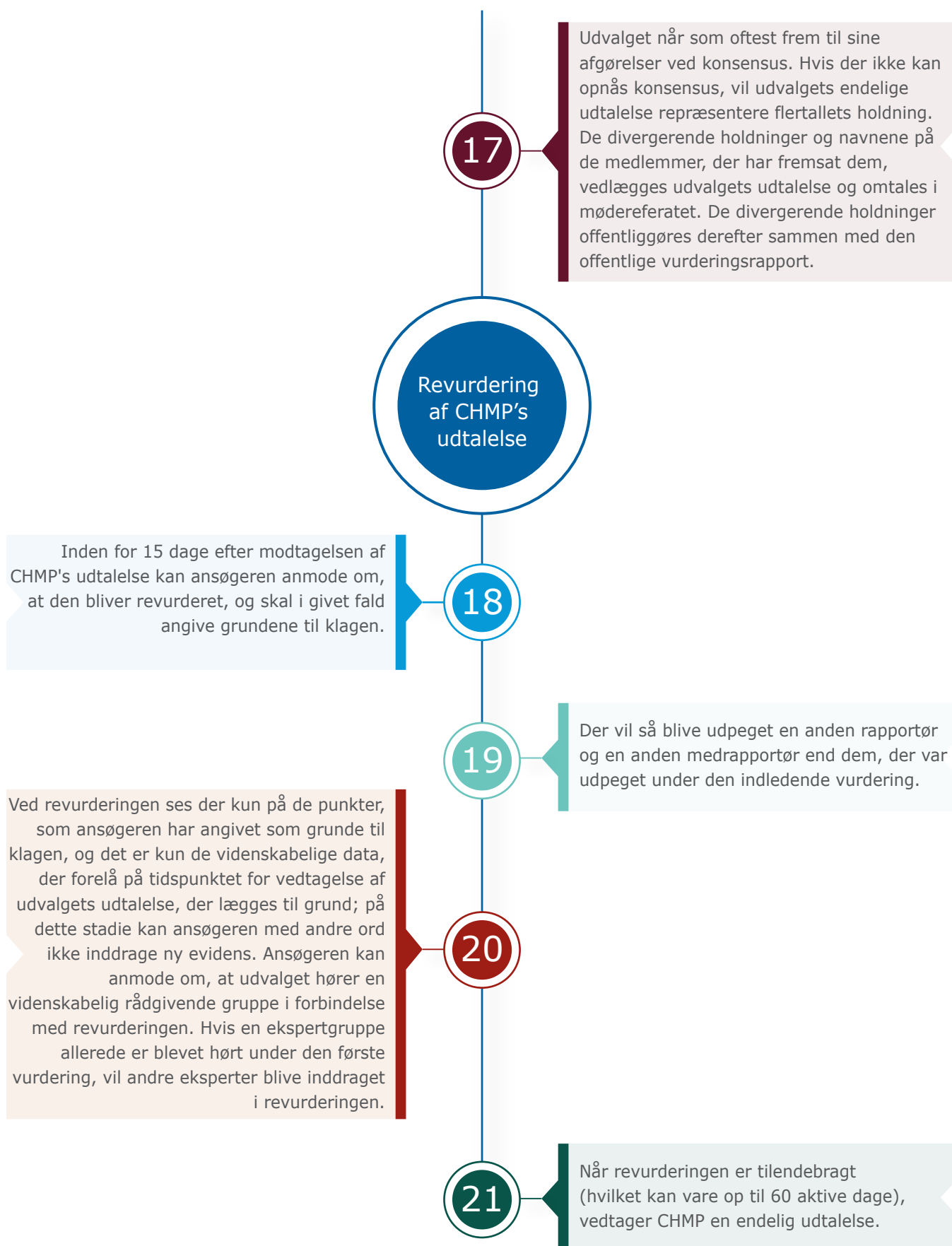
¹ Hvis der er tale om et lægemiddel til avanceret terapi, vil rapportørerne blive udpeget blandt medlemmerne i EMA's Udvalg for Avancerede Terapier (CAT), idet de hver især skal samarbejde med en CHMP-koordinator.



² Der inddrages også CAT-medlemmer, hvis der er tale om avancerede terapier.







04

Godkendelse



Hvem udsteder markedsføringstilladelser i EU?

EMA er et videnskabeligt organ, som har den ekspertise, der skal til for at vurdere fordele og risici ved lægemidler. Efter EU-lovgivningen har EMA imidlertid ikke bemyndigelse til at udstede markedsføringstilladelser i de forskellige EU-lande. EMA's rolle er at fremsætte en anbefaling til Europa-Kommissionen, der så træffer en endelig, juridisk bindende afgørelse om, hvorvidt et givet lægemiddel må markedsføres i EU eller ej. Afgørelsen udstedes inden for 67 dage efter modtagelsen af EMA's anbefaling. Kommissionen er således det bemyndigende organ for alle centralt godkendte lægemidler.

Kommissions afgørelser offentliggøres i [fællesskabsregistret](#) for lægemidler til mennesker.



Vidste du det?

De fleste nye, innovative lægemidler vurderes af EMA og godkendes af Europa-Kommissionen med henblik på markedsføring i EU, mens de fleste generiske lægemidler og den meste håndkøbsmedicin vurderes og godkendes på nationalt plan i EU. Mange ældre lægemidler, der fås i dag, er desuden godkendt nationalt, fordi de er blevet markedsført, inden EMA var oprettet. De fleste medlemsstater har [registre over nationalt godkendte lægemidler](#).

05

Adgang

Hvem træffer beslutninger om patienternes adgang til lægemidler?

Når et lægemiddel har fået markedsføringstilladelse i EU, vil beslutningerne om prissætning og tilskud blive truffet nationalt og regionalt. Da disse valg skal træffes i det enkelte lands sundhedssystem, har EMA ingen indflydelse på beslutningerne om prissætning og tilskud, men agenturet samarbejder med nationale organer som f.eks. MTV-organer (organer til medicinsk teknologivurdering) for at lette disse processer.

Lægemidler, som Europa-Kommissionen udsteder markedsføringstilladelse for, kan bringes i omsætning i hele EU. Den virksomhed, der er indehaver af markedsføringstilladelsen, kan dog selv bestemme, i hvilke EU-lande lægemidlet skal bringes i omsætning.

Inden et lægemiddel gøres tilgængeligt for patienter i et givet EU-land, træffes der beslutninger om prissætning og tilskud på nationalt og regionalt plan i landets sundhedssystem.

EMA har ingen indflydelse på beslutningerne om prissætning og tilskud, men for at lette disse processer samarbejder agenturet med [MTV-organer \(organer til medicinsk teknologivurdering\)](#), som vurderer det nye lægemiddels relative effekt sammenholdt med eksisterende lægemidler, og sundhedsbetalere i EU, der ser på lægemidlets omkostningseffektivitet og indvirkning på sundhedsbudgettet samt sygdommens alvorlighed.

Formålet med dette samarbejde er at finde en måde, hvorpå udviklerne kan imødekomme de datakrav, der stilles af lægemiddelmyndigheder, MTV-organer og EU-sundhedsbetalere, under udviklingen af et lægemiddel i stedet for at skulle generere nye data efter godkendelsen. Hvis der tidligt under udviklingen af et lægemiddel kan genereres ét sæt dokumentation, der opfylder evidenskravene fra alle disse grupper, vil det betyde, at der hurtigere og lettere kan træffes beslutninger om prissætning og tilskud på nationalt plan. For at opnå dette giver EMA og det [europæiske netværk for medicinsk teknologivurdering](#) (EUnetHTA) lægemiddeludviklere mulighed for at få [sideløbende koordineret rådgivning](#) i forbindelse med deres udviklingsplaner.

Patientrepræsentanter inddrages rutinemæssigt i disse høringer, så deres synspunkter og erfaringer kan indgå i drøftelserne.



Vidste du det?

I 2018 blev EMA og MTV-organer anmodet om at bistå med sideløbende rådgivning under udviklingen af 27 lægemidler. I to tredjedele af disse tilfælde blev der inddraget patienter.



06

Sikkerheds- overvågning

Hvordan overvåges et lægemiddels sikkerhed, når det er bragt i omsætning?

Når et lægemiddel er blevet godkendt til anvendelse i EU, overvåger EMA og EU's medlemsstater løbende dets sikkerhed og tager passende forholdsregler, hvis nye oplysninger indikerer, at lægemidlet ikke længere er så sikkert og effektivt som hidtil antaget.

Sikkerhedsovervågningen af lægemidler omfatter en række rutinemæssige aktiviteter, herunder: vurdering af den måde, hvorpå risiciene ved lægemidlet håndteres og overvåges efter godkendelsen, kontinuerlig overvågning af formodede bivirkninger, der indberettes af patienter og sundhedspersoner, afdækkes i nye kliniske studier eller rapporteres i videnskabelige publikationer, regelmæssig vurdering af rapporter, der indsendes af indehaveren af markedsføringstilladelsen, hvad angår benefit/risk-forholdet for lægemidlet i klinisk praksis, samt vurdering af designet og resultaterne af sikkerhedsstudier efter godkendelsen, der er blevet pålagt på tidspunktet for godkendelsen.

EMA kan også foretage gennemgang af et lægemiddel eller en lægemiddelgruppe efter anmodning fra en medlemsstat eller Europa-Kommissionen. Man taler her om EU-indbringelsesprocedurer, der kan indledes ved betænkeligheder angående sikkerheden ved et lægemiddel, effektiviteten af de risikominimerende

foranstaltninger eller benefit/risk-forholdet for et lægemiddel.

EMA har et dedikeret udvalg med ansvar for at vurdere og overvåge sikkerheden ved lægemidler, nemlig Udvalget for Risikovurdering inden for Lægemiddelovervågning (PRAC). Derved sikres det, at EMA og EU's medlemsstater kan handle hurtigt, så snart der konstateres et problem, og med rettidig omhu træffe de nødvendige foranstaltninger for at beskytte patienterne, f.eks. ændre produktinformationen til patienter og sundhedspersoner, suspendere lægemidlet eller begrænse anvendelsen af det.

Yderligere oplysninger om lægemiddelovervågningsaktiviteter kan findes på EMA's [hjemmeside](#).

European Medicines Agency

Domenico Scarlattilaan 6
1083 HS Amsterdam
The Netherlands

Telephone +31 (0)88 781 6000

Send a question www.ema.europa.eu/contact

www.ema.europa.eu

Fra laboratorium til patient: forløbet for et lægemiddel videnskabeligt vurderet af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA)
EMA/103813/2018 Rev. 1

© European Medicines Agency, 2020.

Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.