

PITKÄLLE KEHITETYT TERAPIAT – HAAVEISTA TOTTA JA TEORIASTA KÄYTÄNTÖÖN



Uusimmat tulokkaat lääkemarkkinoille ovat pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävät lääkkeet (advanced therapy medicinal products, ATMPs). Näihin kuuluvat geeni- ja soluterapia- sekä kudosuokkaustuotteet. ATMP-valmisteiden avulla voidaan tulevaisuudessa ehkä palauttaa sairauksien ja tapaturmien seurauksena menetettyjä elintoimintoja. Kyseisten tuotteiden tutkimus- ja kehitystyö on vilkasta.

Tässä Sic!-lehden numerossa referoidaan Fimean ja Parenteral Drug Associationin (PDA) Helsingissä kesäkuussa 2011 järjestämän ATMP-seminaarin esityksiä ja keskusteluita. Kyseisen kokouksen kaltaisilla foorumeilla alan tutkijat, lääkekehitysyrietykset ja lääkevalvontaviranomaiset voivat päivittää tietonsa uudesta, mahdollisesti erittäin merkittävästä lääketieteen alueesta.

ATMP-tuotteet ovat lääkkeitä, joiden markkinointi edellyttää myyntilupaa. Myyntilupa vaadittavat tutkimukset ja selvitykset vaativat runsaasti rahaa ja kärsivällisyyttä. Lääkkeen kehittäjät saattavat kokea viranomaisvaatimukset turhina innovaation esteinä. Sen sijaan lääkkeen käyttäjän, määrääjän ja maksajan kannalta myyntilupaa varten tehdyt selvitykset tuotteen laadusta, tehosta sekä turvallisuudesta ovat ensisijaisen tärkeitä. Ilman näitä tutkimuksia on mahdotonta arvioida lääkkeiden hoidollista arvoa. Monet toimijat ovat sairaaloihin tai yliopistoihin liittyviä pieniä tutkimusyksiköitä tai yrityksiä. Fimea kehittää tieteellistä ja regulatorista neuvontaansa siten, etteivät viranomaisvaatimukset jää epäselviksi pienillekään yrityksille.

Fimea voi myöntää luvan yksittäisten potilaiden yksilölliseen hoitoon tarkoitettujen ATMP-tuotteiden ei-teolliseen valmistukseen, mikä mahdollistaa sairaaloille ja niitä lähellä oleville tutkimuslaitoksille pienimuotoisten hoitokokeilujen tekemisen. Suomessa on myönnetty yksi tällainen kansallinen valmistuslupa ja muutamia hakemuksia on vireillä. Laki ei

kuitenkaan salli valmistusluvan käyttöä lääkkeen rutiininomaiseen valmistukseen ja kliinisten lääketutkimusten ohitukseen.

Pienimuotoisen hoitokokeilun antaessa lupaavia tuloksia täytyy jatkokehityksen tapahtua normaalin lääkekehityksen puitteissa. Kliinisiä lääketutkimuksia valvotaan koehenkilöiden ja potilaiden turvallisuuden takaamiseksi. Ne ovat myös välttämättömiä, jotta hyväksi todettu hoito saadaan kaikkien potilaiden ulottuville. Kokeilujen jatkaminen ilman vakavaa lääkekehitystarkoitusta olisi myös tieteellisesti ja eettisesti kyseenalaista. Maailmalta löytyy jo esimerkkejä ATMP-tuotteiden kriitikittömästä ja harhaanjohtavasta markkinoinnista parantumattomasti sairaille potilaille.

Pekka Kurki

Lääkevalmisteiden arviointi 2 -prosessin johtaja, Fimea