

Skrivelse: Sverige måste verka för en europeisk läkemedelslagstiftning som skyndar på utvecklingen av nya läkemedel för behandling av barncancer och andra sällsynta sjukdomar

Den europeiska läkemedelslagstiftningen, Pharmaceutical Legislation, som just nu förhandlas inom EU kommer att gälla under en lång tid framöver och sätta ramarna för utvecklingen av nya innovativa läkemedel. I den nya lagstiftningen ingår barn i alla delar och har inte längre en egen lag i form av Pediatric regulation. Därför är det avgörande att lagstiftningen utformas på ett sätt som gynnar patienterna, oavsett ålder, och skapar möjligheter för snabbare utveckling av effektiva behandlingar. Inte minst för barn som drabbas av cancer och snabbt behöver ha tillgång till rätt läkemedel, är detta en fråga av yttersta vikt, kanske till och med göra skillnaden mellan liv och död.

Utvecklingen av läkemedel för barn med cancer och för patienter med sällsynta sjukdomar släpar efter, ofta på grund av svaga ekonomiska incitament för läkemedelsbolagen. För att säkerställa att dessa patientgrupper får tillgång till säkra och effektiva behandlingar i rätt tid är det avgörande att lagstiftningen stimulerar innovation och underlättar godkännandeprocesserna. Den föreslagna läkemedelslagstiftningen inom EU innehåller flera viktiga bestämmelser som kan bidra till denna utveckling, och det är av största vikt att Sverige aktivt stödjer dessa initiativ.

Barncancerfonden har med stort intresse tagit del av förslagen i den nya läkemedelslagstiftningen och vill lyfta fram tre särskilt viktiga artiklar som vi menar att Sverige måste prioritera i de pågående förhandlingarna och säkra att de ingår i den framtida lagstiftningen;

1. Artikel 48 – "Repurposing"

Förslaget i artikel 48 kan innebära ett stort genombrott genom att möjliggöra utveckling av nya läkemedel där ekonomiska incitament annars saknas. Detta är extra relevant för ovanliga cancersjukdomar såsom barncancerdiagnoser. Det är avgörande att punkt 2, som ålägger marknadsföringsinnehavare att uppdatera produktinformationen med nya terapeutiska indikationer vid positivt utlåtande, godkänns utan försvagningar.

Vi bifogar till denna skrivelse det "position paper" som Barncancerfonden, tillsammans med många av Europas cancerorganisationer, tagit fram och som handlar specifikt om repurposing och vikten av hur artikel 48 utformas.

2. Artikel 75 – Begränsning av undantag från pediatrika utvecklingsplaner (PIP)

Dagens läkemedelsutveckling drivs primärt av behov hos vuxna och av kommersiella intressen. Artikel 75 syftar till att begränsa undantag från att genomföra en pediatrik utvecklingsplan (PIP) när det finns vetenskapligt stöd för att läkemedlets molekylära mål även påverkar sjukdomar hos barn. Detta är ett avgörande steg för att barn ska få



snabbare tillgång till effektiva läkemedel, särskilt inom cancerområdet, där bristen på ekonomiska incitament idag bidrar till en fördröjning visavi prövningar och godkännande för barn och fortsatt möjlighet till undantag riskerar bidra till att denna fördröjning permanentas, idag tar det i snitt över 6 år innan ett cancerläkemedel för vuxna godkänns för barn.

3. Artiklarna 148 och 149 – Patientmedverkan i regulatoriska beslut

För patienter i Europa är det av största vikt att patientrepresentation byggs in i lagstiftningen och att patientföreträdare behåller sin rösträtt i regulatoriska beslut. Detta säkerställer att patienters behov och erfarenheter får en central roll i beslutsprocesserna.

Delaktighet och transparens

Trots vårt engagemang i dessa frågor, bland annat genom Barncancerfondens representation i EMA:s kommitté för avancerade terapier (CAT), har vi haft svårt att finna information om Sveriges ståndpunkt i frågorna. Det är för oss oklart hur de olika artiklarna i lagförslaget behandlas, vilka som deltar i diskussionerna från Sveriges sida och när beslut förväntas fattas. Vi efterfrågar därför en ökad transparens i denna process och möjligheter för patientföreträdare att delta i dialogen.

Barncancerfonden och våra representanter står till förfogande att bidra med patientperspektiv i de fortsatta diskussionerna om den nya läkemedelslagstiftningen. Vi hoppas att Sverige tar en aktiv roll i att säkerställa att dessa viktiga bestämmelser antas för att förbättra tillgången till livsviktiga läkemedel för barn och patienter med sällsynta sjukdomar.

Med vänliga hälsningar,
Britt-Marie Frost, forskningschef
Ola Mattsson, generalsekreterare
Kerstin Sollerbrant, senior expert forskning

Bilaga

Anticancer Fund Repurposing Paper:
Unleashing Therapeutic Innovation for Patients. By Overcoming Hurdles to New Uses of Authorized drugs.