



Helse- og omsorgsdepartementet  
Postboks 8011 Dep  
0030 Oslo

Vår ref:

Deres ref:

Dato: 24.09.2009

## Høringsuttalelse om forordning (EF) nr. 1901/2006 om legemidler til barn

Bioteknologinemnda har mottatt departementets høringsbrev av 2009-07-07 om forordning (EF) nr. 1901/2006 om legemidler til barn. Nemnda behandlet saken på sitt møte 2009-09-03.

Forordningen har som mål å fremme utvikling og tilgjengelighet av legemidler for barn (0-18 år) og sørge for at kvalitetssikret informasjon om dette blir tilgjengelig.

### Bakgrunn

Godkjente legemidler skal være testet i pre-kliniske og kliniske studier for å sikre at de er trygge, effektive og holder høy kvalitet. Slike tester er ikke nødvendigvis utført med tanke på barn, og det brukes derfor legemidler på barn som ikke er testet eller autorisert for slik bruk. Det mangler gjerne informasjon om dosering, noe som kan føre til overdosering med påfølgende bivirkninger eller underdosering, slik at barn ikke får nytte godt av framskritt i medisinsk behandling. Markedskreftene har ikke strukket til for å stimulere industrien til å utvikle legemidler for barn, og ulike forsøk på å løse problemet på nasjonalt nivå i EU har heller ikke ført fram.

### Forslag til forordning

Legemiddelindustrien må etter en eventuell innføring av forordningen lage planer for utprøving av legemidler på barn. Data i samsvar med en slik godkjent plan må legges fram ved søknad om markedsføringstillatelse for legemidler med nye virkestoffer, for godkjente patenterte legemidler ved søknad om ny indikasjon, ny formulering eller ny administrasjonsmåte. Dersom legemidlene ikke er egnet til bruk på barn eller nødvendige for å behandle barn, kan det søkes om unntak fra kravet. Planen skal godkjennes av Det europeiske legemiddelkontoret (EMA). Innehaver av markedsføringstillatelsen for et legemiddel kan få rett til seks måneders forlengelse av patentbeskyttelsen, under ordningen med supplerende beskyttelsesertifikat, dersom firmaet har gjennomført en slik plan. Departementet foreslår at forordningen tas inn i norsk rett som en del av den nye legemiddelforskriften og at det gjøres en endring i patentloven.

### Bioteknologinemndas kommentarer:

#### Er det et reelt behov for egne regler for utprøving av legemidler for barn?

Som nevnt brukes det ofte legemidler for barn som ikke er godkjent eller testet for slik bruk, hvor manglende informasjon om dosering kan gi bivirkninger eller mindre effektiv behandling.

Bioteknologinemnda slutter seg til at det er et helt klart behov for nye virkemidler som kan fremme utviklingen av legemidler for barn. Innen kreftbehandling har standardbehandlinger og anbefalinger om bruk av medisiner for barn blitt forsket fram i akademiske miljøer, og 50 % av medisinene som er i bruk i Europa i dag fyller ikke kriteriene slik det kreves av et legemiddelfirma for å sende et legemiddel ut på markedet.<sup>1</sup> Selv om 75 % av barna som får kreft i Europa nå blir helbredet, er det likevel mange bivirkninger av medisinene som ikke er kartlagt.<sup>1</sup>

75 % av legemidlene som brukes mot kreft hos barn er legemidler der patentet har utløpt.<sup>1</sup> Slike legemidler vil nå kunne få en egen markedsføringstillatelse, *Paediatric Use Marketing Authorization*, eksklusivt for produkter til bruk for barn. Dette vil være et insentiv for å teste ut produkter for barn der patentet er utgått.

### **Vil den nye lovgivningen virkelig komme barna til gode?**

En seks måneders forlengelse av patentbeskyttelsen regnes av industrien selv som et kraftig insentiv for at legemiddelselskapene skal gjennomføre en pediatrik utprøvningsplan. Bioteknologinemnda mener at erfaringene så langt fra USA, som begynte å innføre lignende lovverk i 1997, og etter innføringen av forordningen i EU i 2007, viser at tiltakene virker. Fram til februar 2009 hadde U.S. Food and Drug Administration (FDA) i USA vurdert data fra utprøving på barn for 360 produkter, og 159 ble gitt forlenget beskyttelse.<sup>1</sup>

Forordningen presiserer at barn ikke skal påføres unødvendige belastninger, og en egen vitenskapelig pediatrik komité i EMEA er allerede opprettet. At komiteen skal godkjenne utprøvningsplanene og følge utviklingen i samarbeid med industrien og akademiske miljøer slik at ordningen blir mest mulig effektiv, er noe nemnda ser som nødvendig og positivt. En utprøvningsplan bør sendes inn på et tidlig stadium i produktutviklingen, slik at tilpasning av legemidler for barn blir en integrert del av prosessen når et legemiddel skal utvikles. Planen kan modereres underveis, og nemnda vil presisere at legemiddelet først bør testes på voksne slik at barn blir utsatt for minst mulig risiko. Nemnda vil for øvrig påpeke at det kan også være en fare for at ekstra markedsføring av spesielt godkjente medisiner til barn gir et press for å bruke mer medikamenter enn strengt tatt nødvendig.

### **Er det riktig å koble utvikling av legemidler for barn til patentlovgivningen?**

Et relevant spørsmål er om forlenget patentbeskyttelse bør brukes som premie for å lage og følge en plan om utprøving av legemidler for barn. Burde ikke dette være en naturlig del av utviklingen av legemidler og ikke gi rett til en særskilt belønning? Et alternativ kunne være å sette som krav for markedsføringstillatelsen at firmaene legger fram gode data for utprøving på barn uten noen ekstra belønning. Dette kan muligens forsinke markedsføringstillatelsen og dermed gå ut over voksne som ikke får nytte godt av ny behandling så fort som de ellers ville ha gjort. Det kan også være en mer omstendelig prosess å få tillatelse til forskning på barn siden foreldrene må gi tillatelse. Legemiddelselskapene bruker tid og ressurser på å gjennomføre utprøvningsplanen, og det er patentbeskyttelsen som gjør at de ser det som lønnsomt å utvikle og teste legemidler. Forordningen har som mål å sikre at legemidler som brukes på barn er skikkelig uttestet og holder høy kvalitet, og tidligere tiltak på området har ikke virket slik som ønsket.

---

<sup>1</sup> Vassal G. (2009) Will children with cancer benefit from the new European Paediatric Medicines Regulation? *European Journal of Cancer* 45, 1535–1546.

Patentforlengelsen gis for å ha utført studier i tråd med planen, ikke for å vise at produktet er trygt og effektivt til bruk for barn. Selv om produktet viser seg å ikke være egnet for barn, vil den forskningen som er gjort gi ny og viktig informasjon, og det kan derfor forsvares å gi belønningen likevel.

Nemnda vil også legge til at Norge, som et lite marked, bør arbeide for å få til internasjonale regler, eventuelt gjennom WHO, som kan øke presset på industrien om å gjøre spesifikk forskning og dokumentasjon på alle preparater som kan komme til å brukes på barn.

### **Bioteknologinemndas konklusjon:**

Nemndsmedlemmene Tor Amlie, Unni Berge, Kristin Eiklid, Nina Grønvold, Njål Høstmælingen, Sara Kahsay, Christin Krokene, Ingvild Riisberg, Torleiv Ole Rognum, Anne Røsvik, Berge Solberg, Even Søfteland, Terje Traavik, Toril Wikesland og Lars Ødegård støtter departementets forslag til gjennomføring av forordningen i norsk rett. Dette fordi barn bør ha krav på tilpassede legemidler og tidligere tiltak har vist seg ikke å ha den ønskede effekten. Ordningen med ekstra patentbeskyttelse har vært en suksess så langt i USA og EU. Det er viktig at EMEA kontrollerer og følger opp det utprøvningsarbeidet legemiddelselskapene gjør.

Også nemndsmedlemmet Bell Batta Torheim mener at barn bør ha krav til tilpassede legemidler, men hun støtter ikke departementets forslag fordi myndighetene bør stille krav til legemiddelindustrien om at de gjennomfører utprøving av legemidler for barn som en naturlig del av de kliniske studiene uten ekstra patentbeskyttelse. Hun vektlegger at patent på medisiner er omstridt internasjonalt og mener at en ytterligere forlengelse av patentbeskyttelsen i tillegg til supplerende beskyttelsessertifikater, vil gi noen selskaper uheldig sterk monopolmakt, noe som blant annet vil gi økte utgifter for Folketrygden og pasientene.

Vennlig hilsen

Lars Ødegård  
Leder

Sissel Rogne  
Direktør

Saksbehandler: Seniorrådgiver Audrun Utskarpen