



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

8 listopada 2019 r.
EMA/338312/2016 wer. 3
Europejska Agencja Leków

Informacje o Europejskiej Agencji Leków

Niniejszy dokument zawiera opis głównych zadań, za które odpowiedzialna jest Europejska Agencja Leków (EMA). Opracowano go na podstawie strony „About us” („O nas”) w witrynie EMA.

Należy pamiętać, że dokument ten zawiera odnośniki do stron EMA, które mogą być dostępne wyłącznie w języku angielskim.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Spis treści

1. Informacje o Europejskiej Agencji Leków.....	3
2. Czym zajmuje się EMA?	3
Ułatwianie prac rozwojowych i dostępu do leków	3
Ocena wniosków o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.....	5
Monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków na każdym etapie	5
Przekazywanie informacji pracownikom opieki zdrowotnej i pacjentom	5
Czym nie zajmuje się Agencja?.....	5
3. Dopuszczanie leków do obrotu	7
Procedura scentralizowana	7
Korzyści dla obywateli UE	7
Zakres procedury scentralizowanej	7
Kto podejmuje decyzje w sprawie dostępu pacjentów do leków?	8
Jak zapewnia się bezpieczeństwo stosowania leku po jego wprowadzeniu do obrotu?	9
Procedura narodowa.....	9
4. Jak EMA ocenia leki stosowane u ludzi?	10
Przygotowanie wniosku.....	10
Proces oceny	12
Zaangażowanie dodatkowych ekspertów	14
Wynik.....	17
5. Kim jesteśmy?	18
Zarząd.....	18
Dyrektor wykonawczy	18
Pracownicy Agencji	18
Komitety naukowe	18
6. Zarząd	19
Skład	19
7. Na czym polega nasza praca?	20
8. Europejska sieć regulacyjna produktów leczniczych.....	20
Korzyści z sieci dla obywateli UE:	21
Łączenie wiedzy fachowej	21
Wielonarodowe zespoły oceniające	21
Gromadzenie informacji	22
9. Postępowanie w przypadku sprzecznych interesów	22
Eksperci naukowci	22
Procedura w przypadku naruszenia zaufania.....	23
Pracownicy.....	24
Członkowie zarządu.....	24
Coroczna aktualizacja zasad niezależności.....	24

1. Informacje o Europejskiej Agencji Leków

EMA jest agencją zdecentralizowaną Unii Europejskiej (UE), mieszczącą się w Amsterdamzie. Rozpoczęła ona swoją działalność w 1995 r. Agencja jest odpowiedzialna za ocenę naukową, nadzorowanie i monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków opracowywanych przez firmy farmaceutyczne z myślą o ich używaniu na terenie UE.

EMA odpowiada za ochronę zdrowia publicznego i zdrowia zwierząt w państwach członkowskich UE, a także w państwach należących do Europejskiego Obszaru Gospodarczego (EOG), zapewniając, że wszystkie leki dostępne na rynku UE są bezpieczne, skuteczne i cechują się wysoką jakością.

2. Czym zajmuje się EMA?

Misją EMA jest wspieranie doskonałości naukowej w obszarze oceny leków i nadzoru nad nimi – z myślą o dobrostanie publicznym i zdrowiu zwierząt w UE.

Ułatwianie prac rozwojowych i dostępu do leków

EMA zobowiązuje się do zapewnienia **pacjentom bezzwłocznego dostępu** do nowych leków i odgrywa kluczową rolę w zakresie wspierania prac rozwojowych nad lekiem, aby pacjenci mogli odnieść korzyści z leczenia.

W tym celu Agencja stosuje wiele **mechanizmów regulacyjnych**, które są stale kontrolowane i ulepszone. Dodatkowe informacje dostępne są na poniższych stronach:

- [wsparcie dla wczesnego dostępu do leków](#),
- [doradztwo naukowe i pomoc w przygotowaniu protokołu](#),
- [procedury dotyczące pacjentów pediatrycznych](#),
- wsparcie naukowe dla [leków terapii zaawansowanej](#),
- [oznaczenie sieroce](#) leków stosowanych w rzadkich chorobach,
- [wytyczne naukowe](#) dotyczące wymogów w badaniu jakości, bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leków,
- [grupa zadaniowa ds. innowacji](#) – forum wczesnego dialogu z wnioskodawcami.

EMA pełni też istotną funkcję we [wspieraniu badań naukowych](#) i innowacji w sektorze farmaceutycznym oraz promuje innowacje i prace rozwojowe nad nowymi lekami, prowadzone przez europejskie [mikro-, małe i średnie przedsiębiorstwa](#).

Kto prowadzi wstępne badania naukowe leków?

Wstępne badania naukowe leków są zwykle prowadzone przez **firmy farmaceutyczne i biotechnologiczne**. Niektóre duże firmy opracowują wiele leków, podczas gdy mniejsze prowadzą badania tylko nad jednym albo dwoma lekami.

Badaniami zajmują się również **lekarze i naukowcy**, którzy w ramach wzajemnej współpracy mogą prowadzić badania nad nowymi lekami albo nowymi zastosowaniami istniejących już leków. Każdego roku ci badacze, zatrudnieni w instytucjach państwowych lub prywatnych, oceniają wiele substancji pod kątem ich przydatności terapeutycznej.

Tylko jednak niewielka część badanych związków okaże się na tyle obiecująca, by można było przejść do kolejnej fazy prac rozwojowych.



Warto wiedzieć

We wczesnej fazie prac rozwojowych twórcy **innowacyjnego leku** mogą dyskutować nad naukowymi, prawnymi i regulacyjnymi stronami opracowywanych przez nich leków z przedstawicielami EMA w ramach działań [grupy zadaniowej ds. innowacji](#). W [2018 r.](#) 9 spośród 22 wniosków dotyczących dyskusji na wczesnym etapie zgłosiły uniwersytety albo grupy pracowników naukowych uczelni.

Na czym polegają badania potencjalnych nowych leków?

Potencjalne nowe leki bada się najpierw w laboratorium, a następnie u ochotników w tak zwanych [badaniach klinicznych](#). Pomagają one zrozumieć działanie leków oraz umożliwiają ocenę **korzyści i działań niepożądanych związanych z ich stosowaniem**.

Twórcy leku, którzy chcą prowadzić [badania kliniczne](#) na terenie UE, muszą złożyć wnioski do [właściwych organów krajowych](#) w państwach, w których chcą przeprowadzić badania.

EMA nie ma nic wspólnego z udzielaniem zezwoleń na prowadzenie [badań klinicznych](#) w UE; należy to do obowiązków [właściwych organów krajowych](#).

EMA, we współpracy z państwami członkowskimi UE, pełni jednak główną funkcję w procesie kontroli przestrzegania przez twórców leków **norm unijnych i międzynarodowych**.

Niezależnie od tego, czy badania prowadzone są w UE, czy poza nią, podmioty przeprowadzające badania w celu uzyskania [pozwolenia na dopuszczenie danego leku do obrotu w UE](#) muszą podporządkować się surowym regułom. Reguły te, nazywane wytycznymi [dobrej praktyki klinicznej](#), dotyczą sposobu planowania badań, a także rejestrowania i zgłaszania ich wyników. Wprowadzono je po to, by mieć pewność, że badania są oparte na solidnych podstawach naukowych i prowadzone w sposób etyczny.

Czy EMA może mieć wpływ na to, które leki powinny być opracowane?

EMA **nie może sponsorować leków, finansować badań** nad konkretnymi lekami ani zmuszać firm do badania określonych leków lub terapii pod kątem zastosowania w poszczególnych chorobach.

Jako organ nadzorujący procedury rejestracji leków EMA musi zachować neutralne stanowisko i nie może czerpać finansowych ani żadnych innych korzyści w związku z jakimikolwiek lekami w ramach prac rozwojowych.

Może jednak ogłosić i ogłasza, w jakich dziedzinach istnieje zapotrzebowanie na nowe leki — na przykład nowe antybiotyki — aby **zachęcić zainteresowane podmioty** do prowadzenia prac badawczych w tych obszarach. Ponadto przepisy prawa obowiązujące w UE zapewniają środki, które mają zachęcić firmy do prowadzenia prac rozwojowych nad [lekami stosowanymi w rzadkich chorobach](#). Takim środkiem jest na przykład zmniejszenie opłat za usługi [doradztwa naukowego](#) świadczone przez EMA.

Przepisy prawa obowiązujące w UE zapewniają również system zobowiązań, nagród i zachęt motywujących producentów do prowadzenia prac badawczo-rozwojowych nad [lekami dla dzieci i młodzieży](#).

Ocena wniosków o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu

[Komitety naukowe](#) EMA, po przeprowadzeniu wyczerpującej **oceny naukowej danych**, wydają niezależne zalecenia dotyczące leków stosowanych u ludzi i w warunkach weterynaryjnych.

Prowadzone przez Agencję oceny wniosków o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu składanych w ramach **procedury scentralizowanej** stanowią podstawę [udzielania pozwoleń na dopuszczenie leków do obrotu](#) w Europie.

Takie oceny są również podstawą do podjęcia ważnych decyzji dotyczących leków będących już w obrocie w Europie, a zgłoszonych do EMA w ramach [procedur arbitrażowych](#). EMA koordynuje [kontrole](#) związane z oceną wniosków o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu lub ze sprawami zgłoszonymi do jednego z komitetów Agencji.

Monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków na każdym etapie

EMA **stale monitoruje** i nadzoruje bezpieczeństwo stosowania leków dopuszczonych do obrotu w UE, aby zapewnić, że **korzyści z ich stosowania przewyższają ryzyko**. Działania prowadzone przez Agencję:

- opracowywanie wytycznych i ustanawianie norm,
- kontrolowanie przestrzegania przez firmy farmaceutyczne obowiązków dotyczących nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii,
- wspomaganie międzynarodowych czynności w ramach nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii we współpracy z urzędami spoza UE,
- informowanie społeczeństwa o bezpieczeństwie stosowania leków i współpraca ze stronami zewnętrznymi — zwłaszcza przedstawicielami pacjentów i pracowników opieki zdrowotnej.

Dodatkowe informacje podano na stronie dotyczącej [nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii](#).

Przekazywanie informacji pracownikom opieki zdrowotnej i pacjentom

Agencja publikuje **zrozumiałe i bezstronne informacje** o lekach i ich zarejestrowanych wskazaniach. Obejmują one ogólnodostępne wersje sprawozdań z oceny naukowej i podsumowań, sporządzonych w niespecjalistycznym języku.

Dodatkowe informacje dostępne są na poniższych stronach:

- [przejrzystość](#),
- [wyszukiwanie produktów leczniczych stosowanych u ludzi](#),
- [wyszukiwanie produktów weterynaryjnych](#).

Czym nie zajmuje się Agencja?

Nie wszystkie kwestie regulacyjne w zakresie leków na terenie UE należą do kompetencji Agencji. EMA nie zajmuje się:

- **oceną wstępnych wniosków o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu każdego leku wprowadzanego w UE.**Znacząca większość leków dostępnych na terenie UE jest rejestrowana na poziomie krajowym. Więcej informacji o sposobach dopuszczania leków do obrotu na terenie UE zawiera rozdział 2 tego dokumentu,
- **oceną wniosków o zezwolenie na przeprowadzenie badań klinicznych.** Udzielanie zezwoleń na prowadzenie [badań klinicznych](#) odbywa się na poziomie państwa członkowskiego, aczkolwiek Agencja odgrywa istotną rolę w zapewnianiu, że we współpracy z państwami członkowskimi przestrzegane są wytyczne dobrej praktyki klinicznej, a ponadto zarządza bazą danych badań klinicznych prowadzonych w UE,
- **oceną wyrobów medycznych.** Regulacją wyrobów medycznych w Europie zajmują się właściwe organy krajowe. EMA uczestniczy w ocenie wyrobów medycznych z określonych kategorii. Dodatkowe informacje podano na stronie o [wyrobach medycznych](#),
- **przeprowadzaniem prac badawczo-rozwojowych dotyczących leków.** Prace badawczo-rozwojowe w zakresie leków prowadzone są przez firmy farmaceutyczne albo inne podmioty tworzące leki, a wyniki tych prac oraz rezultaty badań opracowanych produktów przekazywane są Agencji do oceny,
- **podejmowaniem decyzji o cenie albo dostępności leków.**Decyzje dotyczące ceny i polityki refundacyjnej podejmowane są na poziomie poszczególnych państw członkowskich z uwzględnieniem potencjalnej roli i zastosowania danego leku w kontekście funkcjonującego w tym państwie systemu opieki zdrowotnej. Dodatkowe informacje dostępne są na stronie o [organach prowadzących ocenę technologii medycznych](#),
- **kontrolowaniem reklam leków.** Kontrola nad reklamami leków dostępnych w UE bez recepty jest sprawowana przede wszystkim przez organy przemysłowe na zasadzie samoregulacji ze wsparciem [organów krajowych](#) w danym państwie członkowskim w roli regulatora,
- **kontrolowaniem patentów z zakresu farmacji albo zbieraniem o nich informacji.** Patenty obowiązujące w większości krajów Europy można uzyskać na poziomie krajowym przez krajowe urzędy patentowe albo w ramach procesu scentralizowanego za pośrednictwem [Europejskiego Urzędu Patentowego](#),
- **opracowywaniem wytycznych terapeutycznych.** Wytyczne wspomagające decyzje w zakresie diagnostyki, sposobów postępowania i leczenia w określonych obszarach opieki zdrowotnej (nazywane też czasami wytycznymi klinicznymi) są opracowywane przez rząd albo urzędy ds. zdrowia w poszczególnych [państwach członkowskich UE](#),
- **udzielaniem porad medycznych.** Porady dotyczące chorób, leczenia albo działań niepożądanych leku są udzielane indywidualnym pacjentom przez pracowników opieki zdrowotnej,
- **opracowywaniem przepisów dotyczących leków.** Przepisy unijne dotyczące leków opracowuje [Komisja Europejska](#), a przyjmują je [Parlament Europejski](#) wraz z [Radą Unii Europejskiej](#).Komisja Europejska opracowuje też politykę UE w zakresie produktów leczniczych stosowanych u ludzi, produktów leczniczych weterynaryjnych i zdrowia publicznego. Dodatkowe informacje dostępne są na stronie [Komisji Europejskiej: produkty lecznicze stosowane u ludzi](#),
- **wydawaniem pozwoleń na dopuszczenie do obrotu.** Decyzja o przyznaniu, zawieszeniu albo wycofaniu pozwolenia na dopuszczenie danego leku do obrotu leży w gestii [Komisji Europejskiej](#) w przypadku produktów dopuszczanych do obrotu w procedurze scentralizowanej oraz właściwych organów krajowych danego [państwa członkowskiego UE](#) w przypadku produktów dopuszczanych do obrotu w procedurze narodowej.

3. Dopuszczanie leków do obrotu

Przed wprowadzeniem jakiegokolwiek leku na rynek i udostępnieniem go pacjentom musi on uzyskać pozwolenie na dopuszczenie do obrotu. W UE obowiązują dwie podstawowe procedury dopuszczania leków do obrotu: scentralizowana i narodowa.

Procedura scentralizowana

W ramach procedury scentralizowanej firma farmaceutyczna składa do EMA **jeden wniosek o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.**

Umożliwia to podmiotowi odpowiedzialnemu wprowadzenie leku na rynek i udostępnienie go pacjentom oraz pracownikom opieki zdrowotnej na terenie UE na podstawie jednego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) albo Komitet ds. Weterynaryjnych Produktów Leczniczych (CVMP), podlegające Agencji, przeprowadzają ocenę naukową wniosku i wydają zalecenie co do tego, czy lek powinien być dopuszczony do obrotu, czy też nie.

Po przyznaniu przez [Komisję Europejską](#) pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w procedurze scentralizowanej jest ono **ważne we wszystkich państwach członkowskich UE**, a także w państwach EOG: Islandii, Liechtensteinie i Norwegii.

Korzyści dla obywateli UE

- leki dla wszystkich obywateli UE są dopuszczane do obrotu w tym samym czasie,
- prowadzona jest pojedyncza ocena przez ekspertów europejskich,
- druki informacyjne są udostępniane we wszystkich językach UE w tym samym czasie.

Zakres procedury scentralizowanej

Procedura scentralizowana jest **obowiązkowa** w przypadku:

- produktów leczniczych stosowanych u ludzi, które zawierają nową substancję czynną wykorzystywaną do leczenia:
 - [ludzkiego wirusa niedoboru odporności](#) (HIV) albo zespołu nabytego niedoboru odporności (AIDS),
 - [nowotworu](#),
 - [cukrzycy](#),
 - [chorób neurodegeneracyjnych](#),
 - [chorób autoimmunologicznych i innych zaburzeń immunologicznych](#),
 - [chorób wirusowych](#),
- leków wytwarzanych w procesach biotechnologicznych, na przykład przez inżynierię genetyczną,
- [leków terapii zaawansowanej](#), na przykład leków terapii genowej, terapii komórek somatycznych albo leków opracowanych w wyniku inżynierii tkankowej,
- [leków sierocych](#) (leków stosowanych w rzadkich chorobach),

- weterynaryjnych produktów leczniczych stosowanych jako środki poprawiające wzrost albo wydajność.

Procedura jest **nieobowiązkowa** w przypadku pozostałych leków:

- zawierających nowe substancje czynne w przypadku wskazań innych niż te wymienione powyżej,
- stanowiących znaczną innowację leczniczą, naukową lub techniczną,
- których dopuszczenie do obrotu leży w interesie zdrowia publicznego albo zdrowia zwierząt na poziomie UE.

Obecnie **znacząca większość innowacyjnych leków** jest dopuszczana do obrotu na rynku UE przez procedurę scentralizowaną.

Kto podejmuje decyzje w sprawie dostępu pacjentów do leków?

Leki, którym Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, mogą być wprowadzone na rynek w całej UE.

Zanim jednak lek zostanie udostępniony pacjentom w konkretnym państwie UE, decyzje dotyczące **cen** i **polityki refundacyjnej** podejmowane są na szczeblu krajowym i regionalnym z uwzględnieniem specyfiki systemu opieki zdrowotnej w danym kraju.

EMA nie ma wpływu na określanie ceny ani polityki refundacyjnej. Aby jednak ułatwić te procesy, Agencja współpracuje zarówno z urzędami ds. oceny technologii medycznych (HTA), które oceniają względną skuteczność nowego leku w porównaniu z lekami już dostępnymi, jak i z **płatnikami świadczeń** z zakresu opieki zdrowotnej w UE, którzy analizują efektywność kosztową danego leku, jego wpływ na budżet systemu opieki zdrowotnej oraz stopień ciężkości przebiegu choroby.

Celem tej współpracy jest znalezienie sposobu, w jaki twórcy leku mają zapewnić niezbędne dane organom nadzorującym procedury rejestracji leków, a także urzędowi ds. HTA oraz płatnikom świadczeń z zakresu opieki zdrowotnej w UE w czasie prac rozwojowych nad lekiem, zamiast tworzenia nowych danych po jego dopuszczeniu do obrotu. Jeśli na wczesnym etapie prac rozwojowych nad lekiem uda się utworzyć jeden komplet dowodów, który zaspokoi potrzeby wszystkich tych grup, podjęcie decyzji w sprawie cen i polityki refundacyjnej na szczeblu krajowym powinno być łatwiejsze i szybsze.

Aby to osiągnąć, EMA oraz europejska sieć ds. oceny technologii medycznych (EUnetHTA) oferują twórcom leków możliwość uzyskania jednoczesnej, skoordynowanej opinii na temat ich planów prac rozwojowych.

W tych konsultacjach rutynowo uczestniczą przedstawiciele pacjentów, co umożliwia uwzględnienie w dyskusji ich poglądów i doświadczeń.



Warto wiedzieć

W czasie prac rozwojowych nad 27 lekami w 2019 r. na życzenie skorzystano jednocześnie z porad udzielanych przez EMA i urzędy ds. HTA. W dwóch trzecich spośród tych porad uwzględniono opinie pacjentów.

Jak zapewnia się bezpieczeństwo stosowania leku po jego wprowadzeniu do obrotu?

Po dopuszczeniu leku do obrotu w Unii Europejskiej EMA i państwa członkowskie UE **stale kontrolują** bezpieczeństwo jego stosowania i podejmują odpowiednie działania, jeśli nowe informacje wskazują na to, że dany lek już nie jest tak skuteczny ani bezpieczny, jak sądzono wcześniej.

- Monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków obejmuje wiele **rutynowych czynności**, obejmujących między innymi:
- ocenę sposobu, w jaki zarządzane i monitorowane jest ryzyko związane z lekiem po jego dopuszczeniu do obrotu,
- stałe monitorowanie podejrzewanych działań niepożądanych zgłaszanych przez pacjentów i pracowników opieki zdrowotnej, identyfikowanych w nowych badaniach klinicznych czy opisywanych w publikacjach naukowych,
- regularną ocenę sprawozdań, które dotyczą stosunku korzyści do ryzyka dla danego leku w rzeczywistych warunkach i są składane przez firmy będące posiadaczami pozwolenia na dopuszczenie do obrotu,
- ocenę metodyki i wyników porejestracyjnych badań bezpieczeństwa, wymaganych w momencie udzielenia pozwolenia.

Na życzenie państwa członkowskiego lub Komisji Europejskiej EMA może również przeprowadzić weryfikację danych dotyczących leku lub klasy leków. Są to tak zwane unijne **procedury arbitrażowe**; zazwyczaj rozpoczyna się je z powodu problemów związanych z bezpieczeństwem stosowania leku, skutecznością działań mających na celu zminimalizowanie ryzyka lub stosunkiem korzyści do ryzyka.

Przy EMA działa specjalnie wyznaczony komitet odpowiedzialny za ocenę i monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków, czyli Komitet ds. Oceny Ryzyka w ramach Nadzoru nad Bezpieczeństwem Farmakoterapii (PRAC). Dzięki temu EMA i państwa członkowskie UE mogą bardzo szybko zareagować w razie wykrycia problemu i **podjąć niezbędne działania** w celu zapewnienia natychmiastowej ochrony pacjentów, takie jak zmiana informacji dostępnych dla pacjentów i pracowników opieki zdrowotnej, ograniczenie stosowania leku lub zawieszenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Dodatkowe informacje podano na stronie dotyczącej nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii: informacje ogólne.

Procedura narodowa

Większość leków dostępnych w UE dopuszczono do obrotu na poziomie krajowym, ponieważ zarejestrowano je jeszcze przed powstaniem EMA albo nie należały one do zakresu procedury scentralizowanej.

Każde państwo członkowskie UE ma własne krajowe procedury udzielania pozwoleń. Informacje o tych procedurach zwykle są publikowane na stronach internetowych właściwych organów krajowych:

- właściwe organy krajowe (produkty stosowane u ludzi),
- właściwe organy krajowe (produkty weterynaryjne).

Jeśli firma chce uzyskać pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w kilku państwach członkowskich UE leku, który jest spoza zakresu procedury scentralizowanej, to może skorzystać z jednego z następujących sposobów:

- **procedura wzajemnego uznania**, stosowana w przypadku, gdy pozwolenie na dopuszczenie do obrotu przyznane w jednym państwie członkowskim może być uznane w innych krajach UE,
- **procedura zdecentralizowana**, stosowana w przypadku, gdy lek jeszcze niedopuszczony do obrotu w UE może jednocześnie uzyskać pozwolenie w kilku państwach członkowskich UE.

Dodatkowe informacje dostępne są na poniższych stronach:

- [grupa koordynacyjna ds. procedur wzajemnego uznania i zdecentralizowanej — produkty stosowane u ludzi](#),
- [grupa koordynacyjna ds. procedur wzajemnego uznania i zdecentralizowanej — produkty weterynaryjne](#).

Wymagania co do danych i norm regulujących udzielanie pozwoleń na dopuszczenie leków do obrotu są takie same w całej UE — niezależnie od sposobu udzielania pozwolenia.

4. Jak EMA ocenia leki stosowane u ludzi?

EMA jest odpowiedzialna za ocenę naukową wniosków o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w Unii Europejskiej złożonych w ramach procedury scentralizowanej. Taka procedura udzielania pozwoleń umożliwia firmom farmaceutycznym wprowadzenie leku na rynek i udostępnienie go pacjentom oraz pracownikom opieki zdrowotnej na terenie Europejskiego Obszaru Gospodarczego na podstawie jednego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Przygotowanie wniosku

Co się dzieje przed rozpoczęciem oceny leku?

Kilka miesięcy przed rozpoczęciem oceny EMA przekazuje twórcom leków wytyczne, aby mieć pewność, że ich wnioski o wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu są zgodne z wymogami prawnymi i regulacyjnymi, oraz uniknąć niepotrzebnych opóźnień.

Uzyskanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu jest uzależnione od przedstawienia określonych danych na temat leku przez jego twórców. Następnie EMA przeprowadza gruntowną ocenę tych danych, aby móc podjąć decyzję, czy dany lek jest bezpieczny w stosowaniu, skuteczny i dobrej jakości, a więc odpowiedni dla pacjentów.

EMA przekazuje firmom wytyczne dotyczące informacji, jakie należy uwzględnić we wniosku o dopuszczenie do obrotu.

Około 6–7 miesięcy przed złożeniem wniosku twórcy leku mogą spotkać się z przedstawicielami EMA, aby upewnić się, że wniosek jest zgodny z wymogami prawnymi i regulacyjnymi. Oznacza to, że wniosek uwzględnia wszystkie aspekty wymagane przez prawodawstwo UE i konieczne do wykazania, że lek działa zgodnie z przeznaczeniem.

W tych spotkaniach uczestniczy wiele osób zatrudnionych przez EMA, które są odpowiedzialne za różne kwestie, takie jak jakość, bezpieczeństwo stosowania i skuteczność, zarządzanie ryzykiem lub aspekty stosowania u pacjentów pediatrycznych. Osoby te będą się zajmować wnioskiem przez cały czas trwania oceny.

EMA zachęca twórców leków do ubiegania się o organizację takich spotkań, ponieważ mają one na celu poprawę jakości wniosków i uniknięcie niepotrzebnych opóźnień.

Kto ponosi koszty oceny leku?

Prawodawstwo europejskie wymaga, aby firmy farmaceutyczne uczestniczyły w kosztach regulacji leków. Firmy będą czerpać dochody ze sprzedaży leków, dlatego sprawiedliwe jest, aby ponosiły większość kosztów związanych z ich regulacją. To oznacza, że podatnicy w UE nie muszą pokrywać wszystkich kosztów związanych z zagwarantowaniem bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leków.

Firmy wnoszą opłatę administracyjną z góry — zanim EMA rozpocznie ocenę. Opłata administracyjna dotycząca każdej procedury jest określona w prawodawstwie UE.

Jakie informacje należy podać we wniosku o dopuszczenie do obrotu?

Dane przedstawione przez twórców leków we wnioskach o dopuszczenie do obrotu muszą być zgodne z przepisami prawa UE i zawierać informacje dotyczące:

- grupy pacjentów, w których leczeniu ma być stosowany dany lek, oraz tego, czy istnieją niezaspokojone potrzeby medyczne, które spełni dany lek,
- jakości leku, w tym jego właściwości chemicznych i fizycznych, takich jak trwałość, czystość i aktywność biologiczna,
- zgodności z międzynarodowymi wymogami dotyczącymi analiz laboratoryjnych, wytwarzania leków i prowadzenia badań klinicznych (wytyczne dobrej praktyki laboratoryjnej, dobrej praktyki klinicznej i dobrej praktyki wytwarzania),
- mechanizmu działania leku, określonego w badaniach laboratoryjnych,
- dystrybucji i eliminacji leku w organizmie,
- korzyści obserwowanych w grupie pacjentów, dla których dany lek jest przeznaczony,
- działań niepożądanych leku obserwowanych u pacjentów, w tym także w populacjach specjalnych, takich jak dzieci i młodzież lub osoby w podeszłym wieku,
- sposobu zarządzania ryzykiem i monitorowania ryzyka po dopuszczeniu leku do obrotu,
- informacji, które mają być zbierane w badaniach następczych po dopuszczeniu leku do obrotu.

Informacje o wszelkich możliwych (znanych lub potencjalnych) zagrożeniach związanych z bezpieczeństwem stosowania leku, sposoby zarządzania ryzykiem i monitorowania ryzyka po dopuszczeniu leku do obrotu oraz informacje, które mają być zbierane w badaniach następczych po dopuszczeniu do obrotu, opisano szczegółowo w dokumencie zwanym planem zarządzania ryzykiem (RMP). Komitet EMA ds. bezpieczeństwa, PRAC, ocenia RMP, aby upewnić się, że jest on odpowiedni.

Twórcy leku muszą także dostarczyć informacje, które mają być przekazane pacjentom i pracownikom opieki zdrowotnej (tj. charakterystykę produktu leczniczego (ChPL), oznakowanie produktu leczniczego i ulotkę informacyjną), a CHMP musi je zweryfikować i zatwierdzić.

Skąd pochodzą dane na temat leku?

Większość dowodów zebranych podczas prac rozwojowych nad lekiem pochodzi z badań finansowanych przez twórców leku. Wnioskodawcy muszą też przedłożyć wszelkie inne dostępne dane (na przykład z badań opisanych w publikacjach medycznych), które zostaną ocenione.

Badania prowadzone na poparcie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie danego leku do obrotu muszą sprostować surowym regułom i odbywają się w kontrolowanych warunkach. Międzynarodowe standardy, nazywane wytycznymi dobrej praktyki klinicznej, dotyczą metodyki prowadzenia badań oraz rejestrowania i zgłaszania ich wyników w sposób gwarantujący, że te badania są oparte na solidnych podstawach naukowych i prowadzone etycznie. Dowody konieczne do ustalenia korzyści i zagrożeń związanych ze stosowaniem leku określone są w przepisach prawa UE, których muszą przestrzegać twórcy leku. EMA może zażądać przeprowadzenia kontroli w celu sprawdzenia, czy takie standardy zostały spełnione.

EMA wspiera prowadzenie badań zapewniających odpowiednio wysoki poziom jakości za pośrednictwem inicjatyw, takich jak Europejska Sieć Badań w Pediatrii (Enpr-EMA) oraz Europejska Sieć Ośrodków Farmakoepidemiologii i Nadzoru nad Bezpieczeństwem Farmakoterapii (ENCePP), które centralizują wiedzę fachową niezależnych ośrodków akademickich z całej Europy. Dzięki tym inicjatywom dowody dostarczone przez twórców leków można uzupełnić dowodami z dodatkowych źródeł, zwłaszcza w kontekście nieustannego monitorowania bezpieczeństwa stosowania leku po jego dopuszczeniu do obrotu.

Proces oceny

Jaka jest główna zasada będąca podstawą oceny leku?

Zachowanie równowagi między korzyściami płynącymi ze stosowania leku a związanym z tym ryzykiem jest główną zasadą stanowiącą podstawę procesu oceny leku. Lek można dopuścić do obrotu jedynie wówczas, gdy korzyści wynikające z jego stosowania przewyższają ryzyko.

Stosowanie wszystkich leków wiąże się z korzyściami, ale także z ryzykiem. Oceniając zebrany materiał dowodowy dotyczący leku, EMA ustala, czy korzyści z jego stosowania przeważają nad ryzykiem w grupie pacjentów, dla których ten lek jest przeznaczony.

Ponadto z uwagi na to, że w chwili przyznania wstępnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu nie wszystko wiadomo o bezpieczeństwie stosowania leku, sposób, w jaki ryzyko będzie minimalizowane, oraz metody zarządzania ryzykiem i jego monitorowania po udostępnieniu leku do powszechnego użytku również stanowią integralną część oceny i są uzgadniane w momencie dopuszczenia leku do obrotu.

Chociaż lek jest dopuszczany do obrotu na podstawie ogólnie **pozytywnego stosunku korzyści do ryzyka** w określonej populacji, każdy pacjent jest inny i zanim lek zostanie zastosowany, lekarze oraz ich pacjenci powinni ocenić — opierając się na dostępnych informacjach o leku i szczególnej sytuacji pacjenta — czy jest to odpowiedni wybór w danym przypadku.



Warto wiedzieć

W niektórych przypadkach, na przykład gdy dany lek ma być stosowany w leczeniu choroby zagrażającej życiu, kiedy nie ma zadowalających metod leczenia, albo gdy choroba jest bardzo rzadka, EMA może zalecić udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na podstawie mniej pełnego lub ograniczonego materiału dowodowego — pod warunkiem że w późniejszym okresie dostarczone zostaną dodatkowe dane.

Tak jak w przypadku wszystkich pozwoleń na dopuszczenie do obrotu wciąż należy wykazać, że korzyści związane ze stosowaniem leku przewyższają ryzyko.

Dodatkowe informacje dostępne są na poniższych stronach:

- [warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu](#),
- [wytyczne w zakresie przyznawania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach](#).

Kto zajmuje się oceną wniosków o wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

Wnioski ocenia **komitet złożony z ekspertów**, którego działania wspiera zespół biegłych.

[Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi \(CHMP\)](#), podlegający EMA, ocenia wnioski złożone przez twórców leków i zaleca, czy w przypadku danego leku należy wydać pozwolenie na dopuszczenie do obrotu. W skład tego komitetu wchodzi po jednym członku i jego zmienniku z każdego państwa członkowskiego UE oraz z Islandii i Norwegii. Komitet składa się dodatkowo z maksymalnie pięciu ekspertów z UE w odpowiednich dziedzinach, takich jak statystyka i jakość leków; ekspertów tych mianuje Komisja Europejska.

Podczas przeprowadzania oceny każdy z członków [CHMP](#) jest wspierany przez zespół biegłych w agencjach krajowych — dysponują oni wiedzą fachową i rozpatrują różne aspekty związane z lekiem, takie jak bezpieczeństwo jego stosowania, jakość i sposób działania.

W czasie oceny [CHMP](#) współpracuje również z innymi komitetami EMA. Są to między innymi:

- [Komitet ds. Terapii Zaawansowanych \(CAT\)](#), prowadzący ocenę leków terapii zaawansowanej (leków terapii genowej, opracowanych sposobem inżynierii tkankowej i leków na bazie komórek),
- [Komitet ds. Oceny Ryzyka w ramach Nadzoru nad Bezpieczeństwem Farmakoterapii \(PRAC\)](#), odpowiedzialny za bezpieczeństwo stosowania leku i zarządzanie ryzykiem,
- [Komitet Pediatryczny \(PDCO\)](#), zajmujący się stosowaniem leku u dzieci i młodzieży,
- [Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych \(COMP\)](#), odpowiedzialny za leki, którym przyznano status leku sierociego.

Na czym polega praca CHMP?

Proces oceny [CHMP](#) opiera się na **weryfikacji danych przez recenzentów i podejmowaniu wspólnych decyzji przez całą grupę**.

Do prowadzenia procesu oceny każdego wniosku dotyczącego nowego leku wyznaczanych jest dwóch członków komitetu z różnych państw — sprawozdawca i współsprawozdawca (w przypadku leków generycznych wyznaczany jest tylko jeden sprawozdawca). Wyznacza się ich według obiektywnych kryteriów, aby jak najlepiej wykorzystać wiedzę fachową dostępną w UE.

Zadaniem sprawozdawcy i współsprawozdawcy jest przeprowadzenie naukowej oceny leku w sposób niezależny od siebie. Każdy z nich formuje **zespół oceniający** złożony z biegłych z agencji krajowej w państwie, z którego pochodzą, a czasami też z innych agencji krajowych.

Oba zespoły w sprawozdaniach oceniających przedstawiają w skrócie dane z wniosku, własną opinię na temat działania leku oraz spostrzeżenia dotyczące wątpliwości i ograniczeń związanych z przedłożonymi danymi. Formułują również pytania, na które ma odpowiedzieć wnioskodawca. W tych dwóch oddzielnych procedurach oceny bierze się pod uwagę wymogi regulacyjne, odpowiednie wytyczne naukowe i doświadczenie w ocenie podobnych leków.

Oprócz sprawozdawcy i współsprawozdawcy CHMP wyznacza także jednego lub większą liczbę **recenzentów** spośród swoich członków. Mają oni przyglądać się, w jaki sposób przeprowadzane są obie oceny, i upewnić się, że argumenty naukowe są rzetelne, jasne i solidne.

Proces oceny aktywnie wspomagają także wszyscy członkowie CHMP, prowadzący dyskusje z kolegami i ekspertami ze swoich agencji krajowych. Weryfikują oceny sprawozdawców, wnoszą uwagi i formułują dodatkowe pytania skierowane do wnioskodawcy. Następnie wyniki wstępnej oceny i uwagi recenzentów oraz innych członków komitetu są omawiane w czasie posiedzeń plenarnych CHMP.

W wyniku tych dyskusji i w miarę udostępniania nowych informacji dostarczanych przez dodatkowych ekspertów lub zawartych w wyjaśnieniach przedstawianych przez wnioskodawcę w trakcie procesu oceny argumenty naukowe są precyzowane dokładniej; opracowuje się też końcowe zalecenia stanowiące wynik analizy danych i opinię komitetu na ich temat. Czasami może to na przykład oznaczać, że poglądy komitetu na temat korzyści i zagrożeń związanych ze stosowaniem leku ulegają zmianie w trakcie oceny i różnią się od wyników wstępnych ocen przeprowadzonych przez sprawozdawców.

Czy CHMP może zażądać dostarczenia większej ilości informacji podczas oceny leku?

W czasie oceny CHMP zadaje pytania dotyczące dowodów zawartych we wniosku i prosi wnioskodawcę o **wyjaśnienia lub dodatkowe analizy** w celu rozwiania wszelkich wątpliwości. Odpowiedzi należy dostarczyć w uzgodnionym terminie.

CHMP może zgłosić zastrzeżenia lub obawy dotyczące dowolnego aspektu związanego z lekiem. Poważne zastrzeżenia, jeśli nie zostaną wyjaśnione, **uniemożliwiają dopuszczenie do obrotu**.

Poważne zastrzeżenia mogą na przykład dotyczyć sposobu badania leku, procesu jego wytwarzania lub efektów obserwowanych u pacjentów, takich jak poziom korzyści albo nasilenie działań niepożądanych.

Zaangażowanie dodatkowych ekspertów

Na czyjej wiedzy fachowej może jeszcze oprzeć się CHMP?

Aby wzbogacić dyskusję naukową, często w czasie oceny o konsultację proszeni są eksperci dysponujący specjalistyczną wiedzą naukową lub doświadczeniem klinicznym.

W każdej chwili w trakcie oceny CHMP może powołać dodatkowych ekspertów, prosząc ich o udzielenie porady dotyczącej konkretnych kwestii, które pojawiły się podczas procesu.



Warto wiedzieć

Eksperci z zewnątrz proszeni są o konsultację w przypadku przeciętnie co czwartej oceny dotyczącej nowych leków (pomijając leki generyczne).

CHMP może poprosić o wsparcie i udzielenie odpowiedzi na pytania [grupy robocze](#), których członkowie dysponują wiedzą fachową z określonej dziedziny, na przykład biostatystyki, albo konkretnego obszaru terapeutycznego, na przykład onkologii. Członkowie grup roboczych EMA mają obszerną wiedzę na temat najnowszych osiągnięć naukowych w swojej specjalności.

Komitet może także powołać ekspertów z zewnątrz w ramach [naukowych grup doradczych](#) lub utworzonych doraźnie grup ekspertów. Te grupy, złożone z pracowników opieki zdrowotnej i pacjentów, proszone są o odpowiedź na określone pytania dotyczące możliwości zastosowania i wartości danego leku w praktyce klinicznej.



Warto wiedzieć

EMA regularnie wymienia opinie w sprawie trwających procesów oceny leków z innymi organami regulacyjnymi, takimi jak [Urząd ds. Żywności i Leków \(FDA\) w Stanach Zjednoczonych](#), [Health Canada](#) i [urzędy regulacyjne w Japonii](#). Dyskusje te mogą dotyczyć na przykład zagadnień klinicznych i statystycznych, strategii zarządzania ryzykiem oraz badań, jakie należy przeprowadzić po dopuszczeniu leku do obrotu.

Dodatkowe informacje dostępne są na poniższej stronie:

- [czynności wspólne](#).

Na czym polega udział pacjentów i pracowników opieki zdrowotnej?

Pacjenci i pracownicy opieki zdrowotnej są angażowani jako eksperci, którzy przedstawiają swój pogląd na temat tego, czy dany lek może być odpowiedzią na ich potrzeby.

Pacjenci i pracownicy opieki zdrowotnej zapraszani są w charakterze ekspertów do [naukowych grup doradczych](#) lub powołanych doraźnie grup ekspertów. Pacjenci uczestniczą w dyskusjach, na przykład zwracając uwagę na swoje **doświadczenia związane z chorobą**, własne potrzeby i ryzyko, jakie mogliby uznać za dopuszczalne ze względu na spodziewane korzyści. Pracownicy opieki zdrowotnej mogą doradzać w kwestii grup pacjentów, których potrzeby są niezaspokojone, albo możliwości wykorzystania zaproponowanych środków mających zminimalizować ryzyko związane ze stosowaniem leku w praktyce klinicznej.

Ponadto indywidualni pacjenci mogą brać udział w spotkaniach plenarnych CHMP — osobiście lub w ramach telekonferencji — albo konsultować się pisemnie (dostępny jest [raport z przeprowadzenia programu pilotażowego](#)).



Warto wiedzieć

W 2018 r. pacjenci i pracownicy opieki zdrowotnej uczestniczyli w ocenie mniej więcej jednego na cztery nowe leki (pomijając leki generyczne).

W jaki sposób gwarantowana jest niezależność ekspertów?

Niezależność gwarantują **wysoki poziom przejrzystości** oraz możliwość nałożenia ograniczeń w przypadku stwierdzenia sprzecznych interesów, które mogłyby wpływać na bezstronność.

EMA wprowadziła w życie [zasady postępowania w przypadku sprzecznych interesów](#) w celu ograniczenia powiązań członków, ekspertów i pracowników z możliwymi sprzecznymi interesami w pracy Agencji, przy jednoczesnym zapewnieniu sobie możliwości dostępu do najlepszej wiedzy fachowej.

Członkowie oraz eksperci z komitetów, grup roboczych i [naukowych grup doradczych](#) lub powołanych doraźnie grup ekspertów, zanim wezmą udział w jakichkolwiek pracach EMA, **składają deklaracje interesów**.

Każdej takiej [deklaracji interesów](#) Agencja przypisuje poziom ryzyka uzależniony od tego, czy dany ekspert czerpie jakiegokolwiek bezpośrednio lub pośrednio korzyści (finansowe albo innego rodzaju), które mogłyby mieć wpływ na jego bezstronność. Przed dopuszczeniem do udziału w określonych procedurach EMA sprawdza [deklaracje interesów](#). W razie stwierdzenia sprzecznych interesów ogranicza prawa danego członka lub eksperta.

Ograniczenia te dotyczą zakazu uczestniczenia w dyskusji na konkretny temat lub wykluczenia z głosowania nad określonym zagadnieniem. Deklaracje interesów składane przez członków i ekspertów oraz informacje dotyczące ograniczeń nakładanych w czasie posiedzeń naukowych komitetu są dostępne dla ogółu społeczeństwa w protokołach posiedzeń.

Reguły obowiązujące ekspertów należących do komitetów naukowych są surowsze niż te, którym muszą podporządkować się osoby należące do komitetów doradczych i powołanych doraźnie grup ekspertów. W ten sposób EMA może skorzystać z najlepszej wiedzy fachowej członków grup doradczych w celu zebrania najistotniejszych i najpełniejszych informacji, ale narzucić surowsze reguły, jeśli chodzi o podejmowanie decyzji.

Także wymagania wobec przewodniczących i członków pełniących ważne funkcje, na przykład [sprawozdawców](#), są surowsze niż te wobec pozostałych członków komitetu.

Ponadto członkowie komitetów, grup roboczych, [naukowych grup doradczych](#) (i eksperci uczestniczący w ich posiedzeniach) oraz pracownicy EMA muszą przestrzegać zasad określonych w [kodeksie postępowania EMA](#).



Warto wiedzieć

Na stronie internetowej EMA publikowane są [deklaracje interesów](#) składane przez wszystkich ekspertów, włącznie z pacjentami i pracownikami opieki zdrowotnej, którzy uczestniczą w pracach Agencji. EMA publikuje także [roczne sprawozdania](#) dotyczące niezależności jej przedstawicieli, które zawierają fakty i dane liczbowe odnoszące się do deklarowanych korzyści i wynikających z nich ograniczeń.

Wynik

Jak CHMP wydaje końcowe zalecenia?

Końcowe zalecenia CHMP ustalane są w **oficjalnym głosowaniu**. W warunkach idealnych CHMP przyjmuje uzgodnione stanowisko i jednomyślnie zaleca wydanie lub odmowę wydania [pozwolenia na dopuszczenie do obrotu](#); taki konsensus osiągnany jest w 90% przypadków. Kiedy jednak nie można ustalić końcowych zaleceń w wyniku konsensusu, zalecenia te odzwierciedlają pogląd większości.

Jakie informacje są dostępne dla ogółu społeczeństwa podczas procesu oceny nowego leku i po podjęciu decyzji?

EMA zapewnia wysoki poziom przejrzystości procesu oceny leku dzięki publikacji programów i protokołów posiedzeń, sprawozdań opisujących sposób, w jaki lek był oceniany, oraz wyników badań klinicznych przedstawianych przez twórców leków we wnioskach.

[Lista nowych leków ocenianych](#) przez CHMP jest dostępna na stronie internetowej EMA i aktualizowana co miesiąc.

EMA publikuje także programy i protokoły wszystkich posiedzeń komitetów Agencji, zawierające informacje na temat aktualnego etapu procesu oceny.

Po podjęciu decyzji o przyznaniu lub odmowie [dopuszczenia do obrotu](#) EMA publikuje komplet dokumentów zwany [Europejskim Publicznym Sprawozdaniem Oceniającym](#) (EPAR). Zawiera ono publiczne sprawozdanie oceniające CHMP, w którym szczegółowo opisano oceniane dane oraz uzasadnienie zalecenia przyznania lub odmowy dopuszczenia do obrotu przez CHMP.

W przypadku wniosków złożonych po 1 stycznia 2015 r. EMA publikuje także wyniki badań klinicznych przedstawione przez twórców leków na poparcie [wniosków o dopuszczenie do obrotu](#). W przypadku starszych wniosków wyniki badań klinicznych można otrzymać na życzenie po wystąpieniu z [prośbą o dostęp do dokumentów](#).

Szczegółowy zakres publikowanych przez EMA informacji o lekach stosowanych u ludzi i terminy ich publikacji w okresie od wczesnej fazy prac rozwojowych do wstępnej oceny leku, a także opis zmian rejestracyjnych można znaleźć w [przewodniku po informacjach na temat ocenianych przez EMA leków stosowanych u ludzi](#).



Warto wiedzieć

Do października 2018 r. EMA opublikowała wyniki badań klinicznych przedstawione przez twórców leków we wnioskach o dopuszczenie do obrotu ponad 100 leków ocenianych ostatnio przez Agencję. Wyniki są dostępne dla ogółu społeczeństwa na wyznaczonej [stronie internetowej](#) EMA dotyczącej danych klinicznych.

5. Kim jesteśmy?

Europejska Agencja Leków (EMA) jest agencją zdecentralizowaną Unii Europejskiej odpowiedzialną za ocenę naukową, nadzorowanie i monitorowanie bezpieczeństwa stosowania leków opracowywanych przez firmy farmaceutyczne z myślą o ich używaniu na terenie UE.

EMA jest kierowana przez niezależny zarząd. Za codzienne funkcjonowanie Agencji odpowiadają jej pracownicy, mający swoją siedzibę w Amsterdamie. Ich pracę nadzoruje dyrektor wykonawczy EMA.

EMA jest organizacją wykorzystującą sieć kontaktów — pracę Agencji wspomagają tysiące ekspertów z całej Europy. Działają oni w komitetach naukowych EMA.

Zarząd

[Zarząd](#) składa się z 35 członków wyznaczonych do działania w interesie publicznym, niebędących przedstawicielami żadnego rządu, organizacji ani sektora.

Zarząd ustala budżet Agencji, zatwierdza roczny program prac i odpowiada za efektywność EMA oraz jej pomyślną współpracę z organizacjami partnerskimi na terenie UE i poza nią.

Dodatkowe informacje na ten temat podano w sekcji 3.1.

Dyrektor wykonawczy

[Dyrektor wykonawczy](#) Agencji jest jej przedstawicielem prawnym. Odpowiada on za wszystkie kwestie związane z działalnością i kadrami, a także za przygotowanie rocznego programu prac.

Pracownicy Agencji

Pracownicy Agencji wspierają dyrektora wykonawczego w pełnieniu jego obowiązków — w tym w administracyjnych i proceduralnych aspektach prawa UE dotyczącego oceny i monitorowania bezpieczeństwa stosowania leków na terenie UE.

[Schemat organizacyjny Europejskiej Agencji Leków](#)

Komitety naukowe

W strukturach EMA działa siedem [komitetów naukowych](#), które oceniają leki na różnych etapach — od wczesnych prac rozwojowych, przez udzielanie pozwolenia na dopuszczanie do obrotu, aż do monitorowania bezpieczeństwa ich stosowania po wprowadzeniu na rynek.

Ponadto w ramach Agencji pracuje wiele [grup roboczych i innych grup](#), z którymi komitety mogą konsultować zagadnienia naukowe leżące w obszarze wiedzy fachowej danej grupy.

Grupy te złożone są z [europejskich ekspertów](#) wytypowanych przez właściwe organy krajowe [państw członkowskich UE](#). Współpracują oni ściśle z EMA w ramach [europejskiej sieci regulacyjnej produktów leczniczych](#).

6. Zarząd

Zarząd jest wewnętrznym organem kierowniczym Europejskiej Agencji Leków. Pełni on funkcję nadzorczą i ponosi ogólną odpowiedzialność za kwestie budżetowe i planistyczne, wyznacza dyrektora wykonawczego oraz kontroluje wyniki działalności Agencji.

Zadania operacyjne zarządu obejmują przyjmowanie wiążących prawnie postanowień wykonawczych, ustalanie strategicznych kierunków dla sieci naukowych i przygotowywanie raportów dotyczących wykorzystania środków pieniężnych Unii Europejskiej w ramach działalności Agencji.

Zarząd ma uprawnienia do ustanawiania możliwych do wyegzekwowania na drodze prawnej przepisów w zakresie wdrażania niektórych części **rozporządzenia w sprawie opłat**. Przyjmuje też rozporządzenia finansowe Agencji i jej przepisy wykonawcze, które są wiążące dla EMA, zarządu i dyrektora wykonawczego.

Pełni także główną funkcję w procesie zatwierdzania **sprawozdań finansowych** Agencji przez władzę budżetową Unii Europejskiej. W ramach tego procesu zarząd przeprowadza analizę i ocenę rocznego sprawozdania z działalności dyrektora wykonawczego. Jest to część działań kontrolnych i sprawozdawczych, na podstawie których dyrektor wykonawczy uzyskuje zatwierdzenie budżetu Agencji. Zarząd wydaje też opinię na temat rocznych sprawozdań finansowych EMA.

Współpracuje ściśle z **księgowym** Agencji, którego wyznacza, oraz z **audytorem wewnętrznym**, który składa sprawozdania z audytu do zarządu i dyrektora wykonawczego.

Regulaminy wewnętrzne i kwestie związane z członkostwem w [komitetach](#) Agencji są także konsultowane z zarządem.

Zarząd odpowiada również za przyjmowanie **postanowień wykonawczych** w celu zastosowania w praktyce zasad i przepisów obowiązujących urzędników i innych pracowników UE.

Jego zadania i obowiązki określono w [podstawach prawnych](#) działalności Agencji.

Skład

Członkowie zarządu wyznaczeni są zgodnie z ich wiedzą fachową z zarządzania oraz — w odpowiednich przypadkach — doświadczeniem w dziedzinie leków stosowanych u ludzi albo leków weterynaryjnych. Dobór członków prowadzony jest w taki sposób, by zagwarantować najwyższy poziom kwalifikacji specjalistycznych, jak najszerszą wiedzę fachową z mających znaczenie dziedzin, a także możliwie największy zasięg geograficzny w obrębie UE.

Zarząd składa się z następujących **członków**:

- po jednym przedstawicielu każdego z państw członkowskich UE,
- dwóch przedstawicieli Komisji Europejskiej,
- dwóch przedstawicieli Parlamentu Europejskiego,
- dwóch przedstawicieli organizacji zrzeszających pacjentów,

- jednego przedstawiciela organizacji zrzeszających lekarzy,
- jednego przedstawiciela organizacji zrzeszających lekarzy weterynarii.

Ponadto w skład zarządu wchodzi po jednym **obserwatorze** z Islandii, Liechtensteinu i Norwegii.

Przedstawiciele państw członkowskich, Komisji Europejskiej i Parlamentu Europejskiego wyznaczani są bezpośrednio przez państwo członkowskie albo daną instytucję. Czterech członków zarządu ze społeczeństwa (przedstawiciele pacjentów, lekarzy i lekarzy weterynarii) wyznacza Rada Unii Europejskiej po konsultacjach z Parlamentem Europejskim.

W przypadku przedstawicieli państw członkowskich i Komisji mogą być wyznaczeni zastępcy.

Członkowie zarządu sprawują swój urząd przez trzy lata z możliwością odnowienia kadencji.

7. Na czym polega nasza praca?

Pełniąc swoją misję, EMA współpracuje ściśle z właściwymi organami krajowymi w ramach sieci regulacyjnej. Agencja wdraża też zasady i procedury zapewniające niezależność, otwartość i przejrzystość jej działań, a także utrzymuje najwyższe standardy swoich zaleceń naukowych.

EMA współpracuje blisko z krajowymi organami regulacyjnymi w państwach członkowskich Unii Europejskiej, dzięki czemu gromadzi specjalistów naukowych z całej Europy. Takie działania partnerskie nazywane są europejską siecią regulacyjną produktów leczniczych (więcej informacji na ten temat podano w rozdziale 5).

Sieć **łączy zasoby i wiedzę fachową** w UE i umożliwia EMA dostęp do tysięcy [europejskich specjalistów naukowych](#), którzy współpracują przy regulacji leków.

Dla EMA jedną z najważniejszych kwestii jest zagwarantowanie **niezależności** prowadzonych ocen naukowych. Agencja stara się zapewnić, że eksperci naukowcy, jej pracownicy ani członkowie zarządu nie mają żadnych [udziałów finansowych albo udziałów innego typu](#), które mogłyby wpływać na ich bezstronność.

EMA dąży do tego, aby zachować jak najwyższy poziom **otwartości i przejrzystości** w procesie opracowywania wniosków naukowych. [Europejskie Publiczne Sprawozdania Oceniające](#), opracowywane przez EMA, przedstawiają podstawy naukowe zaleceń Agencji w sprawie wszystkich leków dopuszczanych do obrotu w procedurze scentralizowanej.

EMA publikuje też wiele informacji o swojej pracy i o lekach (**w języku niespecjalistycznym**). Dodatkowe informacje na ten temat podano na stronie dotyczącej [przejrzystości](#).

Agencja dokłada również starań, by publikować jasne i aktualne informacje o swoich działaniach, w tym dokumenty dotyczące **planowania i sprawozdawczości**, informacje o finansowaniu i zarządzaniu finansami oraz sprawozdania budżetowe.

8. Europejska sieć regulacyjna produktów leczniczych

System regulacji leków w Europie jest niepowtarzalny w skali światowej. Bazuje on na ściśle koordynowanej sieci regulacyjnej złożonej z właściwych organów krajowych w państwach członkowskich EOG współpracujących z EMA i Komisją Europejską.

Europejska sieć regulacyjna produktów leczniczych jest podstawą działań i sukcesów EMA. Agencja prowadzi działania w samym centrum sieci — koordynuje i wspiera interakcje między ponad

pięćdziesięcioma [właściwymi organami krajowymi](#) zajmującymi się zarówno lekami stosowanymi u ludzi, jak i lekami weterynaryjnymi.

Takie organy krajowe dostarczają tysiące [europejskich ekspertów](#), którzy są członkami [komitetów naukowych, grup roboczych oraz pozostałych grup](#) działających przy EMA.

W sieć regulacyjną włączona jest też [Komisja Europejska](#), której główną rolą w systemie europejskim jest podejmowanie wiążących decyzji na podstawie zaleceń naukowych opracowanych przez EMA.

Dzięki ścisłej i wzajemnej współpracy sieć gwarantuje, że na terenie Unii Europejskiej dopuszcza się do obrotu bezpieczne do stosowania, skuteczne i wysokojakościowe leki oraz że pacjenci, pracownicy opieki zdrowotnej i obywatele otrzymują odpowiednie i spójne informacje o lekach.

Korzyści z sieci dla obywateli UE:

- umożliwienie państwom członkowskim gromadzenia zasobów i koordynowania pracy w celu wydajnego i skutecznego prowadzenia działań w zakresie regulacji leków,
- dawanie pewności pacjentom, pracownikom opieki zdrowotnej, branży przemysłowej i rządowi przez zagwarantowanie spójnych standardów i wykorzystanie najlepszej dostępnej wiedzy fachowej,
- zmniejszenie obciążenia administracyjnego dzięki stosowaniu procedury scentralizowanej, która sprawia, że leki szybciej docierają do pacjentów,
- przyspieszenie wymiany informacji o ważnych kwestiach, takich jak choćby bezpieczeństwo leków.

Łączenie wiedzy fachowej

Europejska sieć regulacyjna produktów leczniczych zapewnia EMA dostęp do ekspertów z całej UE, dzięki czemu w zakresie regulacji leków Agencja może skorzystać z najlepszej wiedzy fachowej w UE.

Różnorodne kwalifikacje ekspertów uczestniczących w regulacji leków na terenie UE zachęcają do wymiany wiedzy, pomysłów i najlepszych praktyk między naukowcami, którzy dokładają starań, by zapewnić możliwie najwyższe standardy regulacji leków.

Ci europejscy eksperci są członkami działających przy Agencji [komitetów naukowych i grup roboczych](#) albo wspomagają członków zespołów oceniających. Ekspertów mogą wyznaczać państwa członkowskie albo sama EMA, a współpraca z nimi jest możliwa przez [właściwe organy krajowe](#).

Agencja prowadzi dostępny publicznie [wykaz europejskich ekspertów](#) z danymi wszystkich ekspertów, którzy mogą uczestniczyć w pracach prowadzonych przez EMA. Współpraca z ekspertami możliwa jest dopiero po ocenie przez Agencję ich [deklaracji interesów](#).

Wielonarodowe zespoły oceniające

EMA i partnerzy Agencji w ramach sieci regulacyjnej prowadzą program umożliwiający wielonarodowym zespołom ocenę wniosków dotyczących leków stosowanych u ludzi i leków weterynaryjnych. Celem programu jest **uzyskanie jak najlepszej wiedzy fachowej** w procesie oceny leków — niezależnie od miejsca zamieszkania ekspertów.

EMA promuje tworzenie wielonarodowych zespołów oceniających **wstępnych wniosków o dopuszczenie do obrotu** od 2013 r.

Program ten umożliwia sprawozdawcom i współsprawozdawcom, współpracującym z komitetami naukowymi EMA, zapraszanie do ich zespołów oceniających ekspertów z innych państw członkowskich.

To z kolei pozwala zoptymalizować wykorzystanie zasobów w całej sieci regulacyjnej i promować wzbogacanie wiedzy fachowej w ramach międzynarodowej współpracy.

Na początku program obejmował tylko zespoły oceniające leki stosowane u ludzi (CHMP i CAT) po stronie współsprawozdawcy, a następnie został powiększony o zespoły oceniające po stronie sprawozdawcy, zespoły oceniające leki weterynaryjne (CVMP) i procedury udzielania doradztwa naukowego.

Od kwietnia 2017 r. wielonarodowe zespoły mogą także oceniać niektóre wnioski **po zarejestrowaniu leku**, dotyczące rozszerzenia zakresu udzielonego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Gromadzenie informacji

Działalność EMA i organów krajowych opiera się na standardach, procesach i systemach informatycznych umożliwiających wymianę istotnych informacji o lekach między poszczególnymi państwami w Europie i ich łączną analizę.

Niektóre dane są przekazywane przez państwa członkowskie i administrowane centralnie przez EMA. Pomaga to wymieniać informacje związane z wieloma kwestiami, na przykład z:

- [podejrzewanymi działaniami niepożądanymi](#) zgłaszanymi w przypadku leków,
- nadzorem nad [badaniami klinicznymi](#),
- inspekcjami pod kątem przestrzegania dobrych praktyk w zakresie [rozwoju klinicznego](#), [wytwarzania i dystrybucji](#) oraz [monitorowania bezpieczeństwa stosowania leków](#).

Dzięki temu unika się dublowania czynności, a także wspiera skuteczność i wydajność procesów regulacji leków w całej UE.

Dodatkowe informacje o systemach informatycznych zarządzanych przez EMA we współpracy z państwami członkowskimi UE podano na stronie dotyczącej [telematyki w UE](#).

9. Postępowanie w przypadku sprzecznych interesów

Europejska Agencja Leków (EMA) stara się zapewnić, że eksperci naukowi, jej pracownicy ani członkowie zarządu nie mają żadnych udziałów finansowych albo udziałów innego typu, które mogłyby wpływać na ich bezstronność. W każdej z takich grup Agencja wprowadziła oddzielne zasady.

Eksperci naukowi

Opracowane przez Agencję [zasady postępowania w przypadku sprzecznych interesów ekspertów naukowych](#), w tym członków komitetów, pozwalają jej zidentyfikować przypadki, w których należy **ograniczyć lub wyłączyć** potencjalny udział eksperta jako członka komitetu, grupy roboczej, innych grup albo innych działań EMA ze względu na interesy stojące w sprzeczności z przemysłem farmaceutycznym.

Agencja weryfikuje deklarację interesów każdego z ekspertów i przypisuje każdej deklaracji poziom sprzeczności interesów na podstawie ich występowania oraz bezpośredniego albo pośredniego charakteru.

Po przypisaniu poziomu sprzeczności interesów Agencja wykorzystuje otrzymane informacje, aby określić, czy zaangażowanie danego eksperta w określone działania EMA — na przykład w odniesieniu

do oceny konkretnego leku — powinno być ograniczone albo wyłączone. Swoją decyzję Agencja podejmuje na podstawie:

- charakteru zadeklarowanych interesów,
- czasu, który upłynął od uzyskania udziałów,
- rodzaju czynności, które będzie podejmował ekspert.

Obecna wersja zasad stanowi zrównoważone podejście do postępowania w przypadku sprzecznych interesów w celu skutecznego ograniczenia udziału w pracach Agencji ekspertów, których interesy mogą być sprzeczne, przy jednoczesnym zapewnieniu EMA możliwości dostępu do najlepszej wiedzy fachowej.

Zasady te obejmują wiele **środków zapobiegawczych**, w których uwzględnia się charakter zadeklarowanych interesów służący do określenia czasu stosowania ograniczeń:

- stanowisko zarządzające albo kierownicze w ramach prac rozwojowych nad lekiem podczas wcześniejszego zatrudnienia w firmie farmaceutycznej powoduje **wyłączenie z udziału** w ocenach dotyczących takiej firmy albo produktu w czasie kadencji eksperta,
- w przypadku większości zadeklarowanych sprzecznych interesów stosuje się **trzyletni okres karencji**. Ograniczenia udziału maleją z czasem i są różne w przypadku sprzecznych interesów występujących obecnie i interesów, które były sprzeczne w ciągu ostatnich trzech lat,
- w przypadku niektórych sprzecznych interesów, na przykład finansowych, nie wymaga się **okresu karencji** po zaprzestaniu ich występowania.

Wymogi obowiązujące ekspertów należących do komitetów naukowych są surowsze niż te, którym muszą podporządkować się osoby należące do komitetów doradczych i powołanych doraźnie grup ekspertów. Także wymagania wobec przewodniczących i członków pełniących ważne funkcje, na przykład sprawozdawców, są surowsze niż wobec pozostałych członków komitetu.

Zmieniona wersja zasad weszła w życie 30 stycznia 2015 r. EMA w późniejszym terminie zaktualizowała zasady:

- w celu **ograniczenia udziału** ekspertów w ocenie leków, jeśli planują oni przyjęcie stanowiska w przemyśle farmaceutycznym — aktualizacja z maja 2015 r. Ograniczenie to opisano w [wytocznych](#),
- w celu **doprecyzowania ograniczeń**, jeśli ekspert podejmie pracę w przemyśle farmaceutycznym, a także ujednoczenia ograniczeń dotyczących interesów członków bliskiej rodziny dla osób z komitetów i grup roboczych z ograniczeniami stosowanymi w przypadku członków zarządu — aktualizacja z października 2016 r.

W aktualizacji zasad uwzględniono **komentarze stron zainteresowanych**, otrzymane podczas publicznych warsztatów [„Best expertise vs conflicts of interests: striking the right balance”](#) („Wiedza fachowa a sprzeczne interesy: poszukiwanie równowagi”), przeprowadzonych przez Agencję we wrześniu 2013 r.

Procedura w przypadku naruszenia zaufania

EMA stosuje [procedurę w przypadku naruszenia zaufania](#), która określa sposób postępowania Agencji w przypadku błędnych albo niepełnych deklaracji interesów złożonych przez ekspertów i członków komitetów.

Agencja zaktualizowała tę procedurę w kwietniu 2015 r., aby ujednolicić ją z obowiązującą wersją zasad postępowania w przypadku sprzecznych interesów i skorzystać z doświadczenia zdobytego od momentu uzyskania po raz pierwszy poparcia zarządu EMA dla takiej procedury w 2012 r.

Pracownicy

Kodeks postępowania Agencji nakłada na jej wszystkich pracowników obowiązek zachowania bezstronności i corocznego składania deklaracji interesów.

Nowi pracownicy przed rozpoczęciem zatrudnienia w Agencji muszą **zakończyć wszystkie sprzeczne interesy**.

Uzupełnione deklaracje interesów pracowników szczebla kierowniczego dostępne są na stronie EMA dotyczącej [struktury Agencji](#). Wszystkie pozostałe deklaracje udostępniane są na życzenie.

W październiku 2016 r. zarząd zaktualizował zasady postępowania w przypadku wykrycia sprzeczności interesów pracowników Agencji. Zaktualizowane zasady są zbliżone do tych obowiązujących członków komitetów i ekspertów. Opisują one dopuszczalne i niedopuszczalne interesy pracowników i obejmują środki kontrolne podczas mianowania osób odpowiedzialnych za zarządzanie procesem oceny leków.

Członkowie zarządu

[Zasady postępowania w przypadku sprzecznych interesów członków zarządu](#) i [procedura w przypadku naruszenia zaufania](#) są spójne z zasadami postępowania w przypadku sprzecznych interesów i procedurą w przypadku naruszenia zaufania obowiązującymi członków komitetów naukowych i ekspertów.

Zarząd EMA przyjął obecnie obowiązującą wersję zasad i procedury w przypadku naruszenia zaufania w grudniu 2015 r. Zasady zaczęły obowiązywać 1 maja 2016 r. i zostały zaktualizowane w październiku 2016 r. w celu **doprecyzowania ograniczeń** dla osób zatrudnionych w organie zarządzającym stowarzyszeniem pracowników oraz w celu ujednolicenia zasad dotyczących grantów i pozostałych finansowań z zasadami obowiązującymi członków komitetów i ekspertów.

Wszyscy członkowie zarządu muszą każdego roku złożyć deklarację interesów. Deklaracje dostępne są na stronie EMA dotyczącej [członków zarządu](#).

Coroczna aktualizacja zasad niezależności

Od 2015 r. EMA co rok dokonuje weryfikacji wszystkich zasad dotyczących niezależności i postępowania w przypadku sprzecznych interesów oraz wprowadzania tych zasad w życie. W wyniku weryfikacji opracowywany jest roczny raport. Opisuje on wyniki procedur w przypadku naruszenia zaufania, przeprowadzonych kontroli, inicjatywy planowane na kolejny rok i zalecane ulepszenia.