

## LÄÄKETEOLLISUUS RY:N BIOSIMILAARILINJAUS

Lääketeollisuus ry:n jäsenyritykset kehittävät sekä uusia biologisia alkuperäislääkkeitä että niiden patenttisuojan päättymisen jälkeen markkinoille tulevia biosimilaareja. Rakennamme jäsenillemme tässä tilanteessa ennustettavaa, läpinäkyvää ja vuoropuheluun pohjautuvaa toimintaympäristöä.

Näkemyksemme mukaan:

**EMA:n linjauksia turvallisuudesta ja tehosta tulee noudattaa.** Kaikkien uusien hoitovaihtoehtojen käyttöönotossa tulisi aina edetä painottaen hoidon turvallisuutta ja tehoa - niin myös biosimilaarien. Euroopan lääkevirasto EMA on pyrkinyt ohjeillaan varmistamaan, että biosimilaarien myyntilupavaatimuksilla ja potilasturvallisuudella on riittävä tieteellinen perusta. Suomessa noudatetaan EMA:n linjauksia.

**Biosimilaari ei ole geneerinen.** Biologiset alkuperäislääkkeet ovat heterogeeninen ryhmä, jonka lääkeaineet ovat kooltaan ja monimutkaisuudeltaan hyvin erilaisia. Biologinen alkuperäislääke ja sen biosimilaari eivät ole sama lääke, eikä biosimilaari ole geneerinen rinnakkaisvalmiste biologiselle alkuperäislääkkeelle tai toiselle biosimilaarille. Biosimilaarien tuotekehitys- ja tuotantokustannukset ovat korkeammat kuin geneeristen lääkkeiden. Niiden myyntilupaa koskevat vaatimukset ovat geneeristen lääkkeiden vaatimuksia laajemmat, mutta alkuperäislääkkeiden vaatimuksia suppeammat. Biosimilaarin valmisteyhteenvedo sisältää EMA:n hyväksymät käyttötarkoitukset, mutta siitä ei näe, mitkä käyttötarkoitukset biosimilaariyritys on tutkinut kliinisesti ja mitkä perustuvat biologisen alkuperäisvalmisteen kliiniseen materiaaliin. Biologisten lääkkeiden valmistus on vaativampaa ja kalliimpaa kuin kemiallisten lääkkeiden, minkä vuoksi niiden hoitokustannukset ovat usein korkeammat ja käyttöönotossa sairaaloissa ja korvattavuudessa on rajoituksia.

**Hintakilpailu voi laajentaa biologisten lääkkeiden käyttöä.** Biologiset alkuperäislääkkeet ovat jo tärkeä osa monen sairauden lääkehoitoa, ja niiden merkityksen arvellaan yhä kasvavan. Biologisten alkuperäislääkkeiden patenttisuojan päätyttyä biosimilaarit voivat mahdollistaa hoitokustannuksia alentavan hintakilpailun. Näin yhä useampi potilas pääsee hyötymään biologisista lääkkeistä. Biologisten lääkkeiden hoidon tuloksia on seurattava ja niitä varten on rakennettava seurantajärjestelmä. Hintakilpailun tuoman säästön tulee johtaa uusien alkuperäislääkkeiden nykyistä nopeampaan käyttöönottoon sairaaloissa ja korvausjärjestelmässä.

**Valmistekohtainen arviointi on tarpeellinen.** Lääkkeiden hintaa ja korvattavuutta koskevassa päätöksenteossa jokaista biologista alkuperäislääkettä ja biosimilaaria on arvioitava ja käsiteltävä Lääkkeiden hintalautakunnassa valmistekohtaisesti kunkin tuotteen omien ominaisuuksien mukaisesti. Tuemme sellaisen mallin kehittämistä, joka lisää hinta-kilpailua biologisen alkuperäislääkkeen patenttisuojan päättymisen jälkeen. Mallin tulee toimia niin, että kannusteet uusien korvattavien lääkkeiden kehittämiseksi säilyvät. Mallien on varmistettava myös lääkevalmisteiden saatavuus, jotta potilaiden hoidon jatkuvuus voidaan turvata.

**Lääkevalmisteiden vaihdoissa ja vaihdettavuudessa tulee huomioida useita näkökulmia. Ei ole suositeltavaa tehdä vaihtoja ilman lääketieteellisiä syitä.** Lääke-valmisteiden vaihtoa koskevissa menettelytavoissa tulee ottaa huomioon seuraavia lääkäreiden hoidollista asiantuntemusta, potilasturvallisuutta, seurantaa ja jäljitettävyyttä koskevia näkemyksiä:

- Biologisten lääkkeiden yksilöllisten ominaisuuksien vuoksi on tärkeää, että hoitava lääkäri valitsee yhteistyössä potilaan kanssa käytettävän valmisteen. Potilaan täytyy tietää, mitä valmistetta hän saa.
- Lääketieteellisesti perustelluista syistä tehtävien lääkevalmisteiden vaihtojen pitää aina olla mahdollisia. Ei ole suositeltavaa tehdä vaihtoja ilman lääketieteellisiä syitä. Lääkärin on

tapauskohtaisesti harkiten arvioitava hoidon sopivuus yksittäiselle potilaalle, ja biologisten lääkkeiden hoitotuloksia on seurattava tarkasti. Lisäksi on huolehdittava siitä, että potilas osaa käyttää hänelle määrätyn valmisteen annostelulaitetta.

- Biosimilaarit eivät ole apteekissa vaihtokelpoisia, eli niihin eivät päde samat lääke-vaihtoa koskevat kriteerit kuin kemiallisiin lääkkeisiin. Näin tulee olla myös jatkossa.
- Sairaaloissa tulee olla potilaiden hoidon varmistamiseksi riittävä valikoima biologisia alkuperäislääkkeitä ja biosimilaareja. Hankintapäätökset eivät saa johtaa siihen, että potilaan käyttämä valmiste vaihdetaan ilman hoitavan lääkärin arviota vaihdon tarkoituksenmukaisuudesta. Hankinnoissa tulee
  - käyttää useita hankintakriteereitä pelkän hinnan lisäksi
  - säilyttää riittävän laaja, potilaiden yksilölliset tarpeet turvaava tuotevalikoima potilaiden hoitoon
  - mahdollistaa hoidon saumaton jatkuminen avo- ja laitoshoidon rajapinnassa.

**Biologiset lääkkeet on määrättävä kauppanimellä.** Kaikki biologiset lääkkeet on viran-omaisten ohjeiden mukaan määrättävä kauppanimellä, ja myös valmisteen eränumero tulee kirjata potilasasiakirjoihin. Molemmat tiedot ovat välttämättömiä, jotta potilaan käyttämä valmiste voidaan jäljittää haittavaikutus- ja tuotevirhetapauksissa aina valmistuserään saakka.

**Seurantajärjestelmiä tulee kehittää.** Jokaisen potilaan hoito biologisella alkuperäis-lääkkeellä tai biosimilaarilla tulisi dokumentoida niin, että vähitellen muodostuu kattava kuva valmisteiden turvallisuudesta, tehosta, mahdollisten lääkevasta-aineiden muodostumisesta (immunogeenisuudesta) ja vaihdettavuudesta sekä terveyshyötyjen ja kustannusten kokonaisuudesta valtakunnallisella tasolla. Biosimilaarien kirjo on laaja. Lähivuosina markkinoille odotetaan nykyisiä valmisteita monimutkaisempia biosimilaareja, joiden osalta turvallisuusnäkökohdat tulevat korostumaan entisestään.

**Kilpailun tulee antaa toimia.** Biologisten alkuperäislääkkeiden ja biosimilaarien välisen kilpailun tulee antaa toimia mahdollisimman pitkälle markkinoiden ehoilla. Hinnottelu- ja ohjauskeinoissa tulee suosia kilpailua lisääviä toimia lääkevalmisteiden vaihtojen sijaan. Ennakoitavuus tukee kilpailua ja varmistaa lääkkeiden saatavuuden. Kaikkien biologisten lääkkeiden käyttöä tulee seurata erityisen tarkkaan, ja sitä varten Suomeen tulee rakentaa toimivat seurantajärjestelmät, jotka mahdollistaisivat turvallisuuden seurantaan koskevan tiedon kansainvälisen käytön. Viranomaisten tulee jakaa yhdessä alan toimijoiden kanssa aktiivisesti tasapuolista tietoa biologisten lääkkeiden hyödyistä ja riskeistä ja huolehtia turvallisuusseurannasta.

## Määritelmiä (täydennetään tarpeen mukaan myöhemmin):

### Biologinen lääke

Biologisen lääkkeen vaikuttava aine on eristetty biologisesta lähteestä tai tuotettu biologisen lähteen avulla. Biologinen lähde on jokin elävä organismi, esimerkiksi kudokset tai solu.

Yleensä biologinen lääke on proteiini (tai pienempi peptidi), mutta se voi olla myös muu biologinen makromolekyyli (DNA, RNA tai sokerirakenne) tai elimistön osa (solu, verivalmiste tai jopa kudokset). Biologiset lääkeaineet ovat hyvin suuria ja monimutkaisia molekyyliä verrattuna perinteisiin kemiallisiin lääkeaineisiin.

Biologisilla lääkkeillä voidaan korvata jokin elimistön oma molekyyli, jonka määrässä tai laadussa on häiriö, tai muuntaa elimistön omia fysiologisia toimintoja, esimerkiksi puolustusmekanismeja. Biologisen lääkkeen vaikutusmekanismi voi myös perustua sairaudelle keskeisen kohdesolun (oman tai vieraan) tuhoamiseen tai taudin syntyyn osallistuvan molekyylin toiminnan estämiseen. Myös rokotteet ovat biologisia lääkevalmisteita.

## **Biosimilaari**

Biosimilaari on lääkevalmiste, joka sisältää EU:n markkinoilla olevan, myyntiluvallisen biologisen alkuperäislääkkeen (viitevalmiste) vaikuttavan aineen uuden version. Biosimilaarin fysikokemialliset, rakenteelliset ja biologiset ominaisuudet sekä teho ja turvallisuus on vertailtavuustutkimuksissa osoitettu riittävän samankaltaisiksi kuin sen viitevalmistein ominaisuudet.

## **Biosimilaarien myyntilupavaatimukset**

Biosimilaarien myyntilupavaatimukset ovat merkittävästi geneeristen lääkkeiden vaatimuksia laajemmat. Sen lisäksi, että biosimilaareilta vaaditaan samanlainen laatudokumentaatio kuin biologiselle alkuperäislääkkeelle, on osoitettava, että biosimilaari on aktiivisuudeltaan, rakenteeltaan ja puhtausprofiililtaan samankaltainen kuin alkuperäislääke. Lisäksi biosimilaareilta vaaditaan kliinistä tehoa ja turvallisuutta koskevia tutkimuksia, tosin merkittävästi vähemmän kuin biologisilta alkuperäislääkkeiltä.

## **Geneerinen lääke**

Ei-biologinen rinnakkaisvalmiste, joka sisältää saman määrän samaa, identtistä vaikuttavaa ainetta samassa lääkemuodossa kuin alkuperäisvalmiste.