

NOGEL MÓNICA

Az Európai Gyógyszerügynökség (EMA) precíziós medicinára vonatkozó jogi keretrendszere

ABSTRACT

Precision medicine represents a healthcare approach that utilizes patients' molecular data – including genomic, transcriptomic, proteomic, and metabolomic information – alongside phenotypic and health data to enable targeted screening, diagnostics, and treatment options based on the most accurate data available, thereby improving the effectiveness of healthcare systems. Supporting precision medicine is in the interest of states for various reasons, as it can provide numerous social and economic benefits. This study aims to present the legal framework within which the EMA's mechanisms related to precision medicine operate, focusing exclusively on legally relevant documents issued by EU institutions and guidelines and recommendations developed under the aegis of the EMA.

Keywords: precision medicine ■ European Medicines Agency ■ EMA ■ European Union law ■ advanced therapy medicinal products ■ advanced therapy methods ■ “-omics”

I. BEVEZETÉS

A precíziós medicina egy olyan egészségügyi megközelítés, amely a betegek molekuláris – például genomikai, transzkriptomikai, proteomikai, metabolomikai, stb. – adatait, fenotípusos információit és egészségügyi adatait használja fel, hogy a lehető legpontosabb adatok és információk alapján célzott szűrési, diagnosztikai és kezelési lehetőségeket tegyen lehetővé, javítva ezáltal az egészségügyi rendszerek eredményességét.^[1] Megjegyzendő, hogy a szakirodalomban korábban nem különült el a „személyre szabott” és a „precíziós” orvoslás fogalma, mára ugyanakkor a tudományos közösség inkább a precíziós medicina

[1] Nogel, 2022.

kifejezés használatát támogatja.^[2] A terminológiai váltás oka az, hogy a teljesen személyre szabott medicina elérhetősége inkább egy távoli ideál, semmint reális valóság. Az egyén genetikai, biológiai és környezeti tényezőinek átfogó megértése és az arra alapított egészségügyi szolgáltatás nyújtása rendkívül összetett feladat, amely számos akadályba ütközik a jelenlegi orvosi gyakorlatban. A tudományos korlátokon túlmenően a személyre szabott orvoslásnak jelentős gazdasági és társadalmi akadályai is vannak. Ezzel szemben a precíziós medicina nem egyénekre, hanem a hasonló genomikai, molekuláris és klinikai jellemzőkkel rendelkező csoportokra összpontosít, ezzel egy megvalósíthatóbb és klinikailag alkalmazható alternatívát nyújtva. Ez azt jelenti, hogy a betegségek diagnózisa és kezelése során a betegek olyan alcsoportokra vannak osztva, akiknek hasonló genetikai mutációi, biomarkerei vagy más specifikus jellemzőik vannak, amelyek meghatározzák, hogyan reagálnak egy adott kezelésre.^{[3], [4]}

Az államoknak több szempontból is érdekükben áll a precíziós medicina támogatása, mivel az számos társadalmi és gazdasági előnyt biztosíthat. Ezt felismerve az elmúlt években OECD több állama, például Izland, Észtország, Kanada, az Egyesült Királyság és az Egyesült Államok kimagaslóan nagy pénzüsségeket fektetett a precíziós medicina fejlesztésébe.^[5] A legtöbb államban ugyanakkor – köztük Magyarországon is – a precíziós medicina főként csak egy-egy területen, különösen például az onkológia területén nyer magának teret, de összességében a genetikai, proteomikai, epigenetikai, farmakogenomikai stb. (amelyeket összefoglaló néven gyakorta „omikai” vizsgálatokként emlegetnek) hozzáférhetősége korlátozott, és regionálisan nagy eltéréseket mutat.^{[6], [7], [8]}

Ha eltávolodunk a tagállami szinttől, megállapítható, hogy Európában az Európai Bizottság kulcsszerepet játszik a precíziós orvoslás fejlesztésében és megvalósításában.^[9] Az Európai Bizottság 2010-ben kezdett célzott erőfeszítéseket a precíziós medicina területén, kutatási projekteket támogatva, amelyek a betegségek alapvető megértésétől a biomarker-validáción, új diagnosztikai módszerekre és innovatív terápiákra át a betegstratifikáció alkalmazásáig terjednek az egészségügyben. Eddig több mint 3 milliárd eurót fektettek be ezen a területen az EU által, kiegészítve a nemzeti szintű kormányzati befektetésekkel. A rendszeres pályázati felhívások mellett a hosszú távú stratégiák és a köz-magán vagy köz-köz szervezeti struktúrák fejlesztésére összpontosítanak, mint például az ERA PerMed, az Innovatív Egészségügyi Kezdeményezés, az International Consortium for Personalised Medicine (ICPerMed) és a jövőbeni European Partner-

[2] Magyar Tudományos Akadémia, Orvosi Tudományok Osztálya, 22. 8.

[3] Brooks et al., 2016.

[4] Kohler, 2023.

[5] OECD, 2017.

[6] Sipka, 2016.

[7] Dobi et al., 2022.

[8] Molnár M. – Sági – Molnár M. J., 2023.

[9] Nimmesgern – Benediktsson – Norstedt, 2017.

ship for Personalised Medicine (EP PerMed), amely várhatóan a precíziós medicina további fejlődésének fő mozgatórugója lesz. Ezenkívül az Európai Bizottság fontos jogszabályi hozzájárulásokat nyújtott a precíziós medicina fejlesztésének támogatásához, például az Európai Egészségügyi Adattér (EHDS), a klinikai vizsgálatok szabályozása, az általános adatvédelmi rendelet (GDPR), az egészségügyi technológiaértékelési (HTA) rendelet, valamint az in vitro diagnosztikai orvostechikai eszközök rendelete (IVDR) révén.^[10]

Külön kiemelés érdemel az Európai Gyógyszerügynökség (European Medicines Agency, a továbbiakban: EMA), amely kulcsszerepet játszik a precíziós medicina fejlesztésében azáltal, hogy szabályozza az innovatív gyógyszerek és diagnosztikai eszközök piacra jutását, valamint biztosítja azok biztonságát és hatékonyságát. Az EMA központi engedélyezési eljárásai, valamint összehangolt értékelési eljárásai biztosítják a precíziós diagnosztikai eszközök és gyógyszerek elterjedését.

Jelen tanulmány célja annak a jogi keretrendszernek a bemutatása, amelyben az EMA precíziós medicinával összefüggő mechanizmusai működnek. A cikk kizárólag az Európai Unió (a továbbiakban: EU) intézményei által kiadott jogi relevanciával bíró dokumentumaira, valamint az EMA égisze alatt született iránymutatásaira és ajánlásaira fókuszál.

II. A PRECÍZIÓS MEDICINA FOGALMÁNAK MEGJELENÉSE A EU JOGANYAGÁBAN

A „precíziós medicina” kifejezést jogi dokumentumban az EU az Európai Unió Tanácsa által kiadott 2015/C 421/03 következtetései használta először.^[11] Ez a dokumentum a precíziós medicinát egy olyan orvosi modellként határozza meg, amely az egyének fenotípusainak és genotípusainak jellemzését használja – például molekuláris profilalkotás, orvosi képalkotás és életmódbeli adatok alapján –, hogy a megfelelő terápiás stratégiát a megfelelő időben biztosítsa a páciens számára. Ez a jogi elismerés alapot teremtett a precíziós orvoslás EU-s egészségügyi rendszerekbe történő bevezetését támogató politikák kidolgozásához. A precíziós orvoslást olyan orvosi modellként definiálták, amely az egyének fenotípusainak és genotípusainak jellemzését alkalmazza (például molekuláris profilalkotás, orvosi képalkotás, életmódbeli adatok) a megfelelő terápiás stratégia személyre szabására, annak meghatározására, hogy az egyén hajlamos-e bizonyos betegségekre, illetve célzott és időben történő megelőző intézkedések biztosítására. A meghatározást három területen érvényesülő szabályozás alapján rögzítették:^[12] (i) in vitro diagnosztikai orvostechikai eszközökre vonat-

[10] Stenzinger et al., 2023.

[11] A Tanács 2015/C 421/03 következtetései a betegek számára elérhető, személyre szabott orvoslásról (2015.12.17.).

[12] Beccia et al., 2022.

kozó szabályozás;^[13] (ii) a személyes adatok feldolgozása és szabad áramlására vonatkozó jogi szabályozás;^[14] valamint (iii) a humán felhasználásra szánt gyógyszerek klinikai vizsgálataira vonatkozó joganyag.^{[15], [16], [17]} A definíció megjelenésének időpontjára tekintettel a precíziós medicina szempontjából releváns jogi dokumentumokat külön mutatom be, csoportosítva azokat 2015-ig, majd 2016-tól napjainkig.

III. A PRECÍZIÓS MEDICINÁRA VONATKOZÓ JOGANYAG 2015-IG

Az 1998/79/EK irányelv az in vitro diagnosztikai (IVD) orvostechnikai eszközökre vonatkozó szabályozás.^[18] Mivel ezek az eszközök biztosítják azokat a diagnosztikai adatokat, például a biomarker elemzéseket, amelyek lehetővé teszik az egyének fenotípusainak és genotípusainak azonosítását, az irányelv hozzájárult az eszközök biztonságos és hatékony alkalmazásához, biztosítva, hogy az IVD eszközök megfeleljenek a minőségi követelményeknek, és így megbízható alapot nyújtsanak a precíziós diagnosztikai és terápiás döntésekhez.

Az „árva gyógyszerek”, azaz a ritka betegségek^[19] kezelését célzó gyógyszerek kifejlesztését és forgalmazását az EU-ban az 141/2000/EK rendelet szabályozza.^[20] Ezek a gyógyszerek olyan, ritka betegségek kezelésére szolgálnak, amelyekre a hagyományos piac nem kínál megfelelő terápiás megoldást. A rendelet ösztönzőket nyújt a gyógyszergyártók számára, például piaci kizárólagosságot és különleges támogatásokat, amelyek megkönnyítik a ritka genetikai betegségek célzott, személyre szabott kezeléseinek fejlesztését. Ezáltal a rendelet fontos alapot teremtett a precíziós orvoslás számára, hogy a kis betegpopuláci-

[13] Az Európai Parlament és a Tanács 98/79/EK irányelve az in vitro diagnosztikai orvostechnikai eszközökről (1998. október 27.).

[14] Az Európai Parlament és a Tanács 95/46/EK irányelve.) a személyes adatok feldolgozása vonatkozásában az egyének védelméről és az ilyen adatok szabad áramlásáról (1995. október 24.).

[15] Az Európai Unióról szóló szerződés és az Európai Unió működéséről szóló szerződés egységes szerkezetbe foglalt változata 2008/C 115/01 (2008.05.09.).

[16] A Bizottság ajánlása az elektronikus egészségügyi nyilvántartó rendszerek határokon átnyúló átjárhatóságáról (2009.07.02.).

[17] Az Európai Unió Tanácsának 2009/C 151/02 ajánlása a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009.16.08.).

[18] Az Európai Parlament és a Tanács 98/79/EK irányelve az in vitro diagnosztikai orvostechnikai eszközökről (1998. október 27.).

[19] A ritka betegség olyan egészségügyi állapot, amely a lakosság kis részét érinti. Az Európai Unióban egy betegséget akkor tekintenek ritkának, ha kevesebb mint 1 embert érint 2000-ből. Ezek a betegségek gyakran krónikusak, súlyosak, és a genetikai eredetű betegségek közé tartoznak. A ritka betegségek több mint 80%-a genetikai eredetű, és általában korai életkorban jelentkeznek, komoly hatással a betegek életminőségére.

[20] Az Európai Parlament és a Tanács 141/2000/EK rendelete a ritka betegségek gyógyszereiről (1999. december 16.).

ókban is hozzáférhetővé váljanak az egyénre szabott terápiák.

A 2001/20/EK irányelv^[21] meghatározza a klinikai vizsgálatok egységesítésére vonatkozó szabályokat az EU-ban, biztosítva a helyes klinikai gyakorlat elveinek^[22] betartását. Ez az irányelv garantálja, hogy a gyógyszerekkel kapcsolatos klinikai vizsgálatok biztonságosak, etikailag megfelelőek és tudományosan megalapozottak legyenek. A precíziós orvoslás számára kiemelkedően fontos, mivel a célzott terápiák fejlesztéséhez és validálásához jól megtervezett és megfelelően végrehajtott klinikai vizsgálatok szükségesek, amelyek az irányelvnek megfelelően valósulnak meg.

A 2001/83/EK irányelv^[23] az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek forgalomba hozatalának és engedélyezésének szabályozására vonatkozik. Az irányelv biztosítja, hogy a gyógyszerek megfeleljenek a szigorú biztonsági, minőségi és hatékonysági előírásoknak. Ez kiemelt relevanciával bír a precíziós orvoslás számára, mivel a célzott terápiák, amelyek egyének genetikai és fenotípusos jellemzőihez igazodnak, csak akkor lehetnek sikeresek, ha megfelelnek a szigorú uniós szabályozási előírásoknak, biztosítva a betegek biztonságát és a terápiák hatékonyságát.

Az EMA-t a 726/2004/EK rendelet^[24] hozta létre. Az ügynökség központi szerepet játszik az új gyógyszerek, köztük a precíziós terápiák értékelésében és engedélyezésében. A rendelet biztosítja a központosított eljárást, amely lehetővé teszi, hogy a gyógyszerek gyorsan és hatékonyan kapjanak piaci engedélyt az EU-ban, különös figyelmet fordítva az innovatív és célzott kezelésekre. Ez alapvetően elősegíti a precíziós gyógyszerekhez való hozzáférést, biztosítva, hogy ezek a terápiák átfogó tudományos értékelésen és engedélyezési folyamaton menjenek keresztül, ami garantálja a hatékonyságukat és biztonságukat.

A 2006/C 146/01 tanácsi következtetések^[25] rögzítik az EU egészségügyi rendszereinek közös értékeit és alapelveit, mint a méltányosság, a minőség, a betegközpontúság és az egyetemes hozzáférés. A precíziós orvoslás alapelve, hogy minden páciens számára a lehető legcélzottabb kezelést biztosítsa, ami összhangban áll ezekkel az értékekkel. A tanácsi következtetések támogatják a precíziós orvoslás integrációját az egészségügyi rendszerekbe azáltal, hogy

[21] Az Európai Parlament és a Tanács 2001/20/EK irányelve az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel végzett klinikai vizsgálatok során alkalmazandó helyes klinikai gyakorlat bevezetésére vonatkozó tagállami törvényi, rendeleti és közigazgatási rendelkezések közelítéséről (2001. április 4.).

[22] A helyes klinikai gyakorlat (Good Clinical Practice, GCP) elvei a klinikai vizsgálatok során követendő nemzetközi etikai és tudományos előírásokat foglalják össze, amelyek célja a vizsgálatokban részt vevő alanyok jogainak, biztonságának és jólétének biztosítása, valamint a vizsgálati adatok pontosságának és hitelességének garantálása.

[23] Az Európai Parlament és a Tanács 2001/83/EK irányelve az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek közösségi kódexéről (2001. november 6.).

[24] Az Európai Parlament és a Tanács 726/2004/EK rendelete az emberi, illetve állatgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó közösségi eljárások meghatározásáról és az Európai Gyógyszerügynökség létrehozásáról (2004. március 31.).

[25] Az Európai Unió Tanácsának 2006/C 146/01 következtetései a közös értékekről és elvekről az európai uniós egészségügyi rendszerekben (2006.06.22.).

hangsúlyozzák a magas színvonalú, egyénre szabott egészségügyi ellátás fontosságát, amely minden beteg számára elérhető, hozzájárulva ezzel a precíziós terápiák egyenlő hozzáférhetőségéhez és alkalmazásához az EU-ban.

A 1394/2007/EK rendelet^[26] szabályozza a fejlett terápiás gyógyszerkészítményeket (*advanced therapy medicinal product, ATMP*), beleértve a génterápiás, sejttérápiás és szövetmérnöki készítményeket. Ezek a terápiák kulcsszerepet játszanak a precíziós orvoslásban, mivel lehetővé teszik a betegségek genetikai és egyéni szinten történő kezelését. A rendelet biztosítja, hogy ezek a fejlett terápiák szigorú biztonsági, minőségi és hatékonysági követelmények alapján kerüljenek engedélyezésre és felügyeletre, elősegítve a betegbiztonságot és a magas színvonalú, célzott kezelések elérhetőségét az EU-ban. Ez hozzájárul a precíziós orvoslás innovatív terápiáinak fejlesztéséhez és elterjedéséhez.

Az elektronikus egészségügyi nyilvántartási rendszerek határokon átnyúló interoperabilitásáról szóló 2008. július 2-i bizottsági ajánlás^[27] elősegíti az egészségügyi adatok megosztását és hozzáférhetőségét az EU-n belül. Az ajánlás célja, hogy az elektronikus egészségügyi nyilvántartások (EHR) egységes formában elérhetőek legyenek az uniós tagállamok között, lehetővé téve a betegek adataihoz való biztonságos és hatékony hozzáférést. Ez a precíziós orvoslás számára azért fontos, mert a személyre szabott kezelésekhöz gyakran szükség van pontos és átfogó betegadatokra, beleértve a genetikai, fenotípusos és egészségügyi előzményeket, melyek gyors hozzáférhetősége elengedhetetlen a célzott terápiák alkalmazásához.

A 2009. június 8-i tanácsi ajánlás^[28] a ritka betegségek területén végrehajtandó intézkedésekről kiemeli a ritka betegségek kezelésének fontosságát, és elősegíti a kutatás, a diagnózis és a kezelés koordinációját az EU-ban. Az ajánlás célja, hogy előmozdítsa a ritka betegségek területén történő együttműködést, ösztönözze a tagállamok közötti adatmegosztást, és támogassa a megfelelő diagnosztikai módszerek fejlesztését. A precíziós orvoslás alapvető célja az egyéni genetikai és biológiai jellemzők alapján történő személyre szabott kezelés, amely különösen fontos a ritka betegségek esetében, hiszen ezen betegségek gyakran genetikai eredetűek és egyedi terápiás megközelítést igényelnek.

A betegek határokon átnyúló egészségügyi ellátáshoz való jogainak alkalmazásáról szóló 2011/24/EU irányelv^[29] biztosítja, hogy az uniós polgárok szabadon hozzáférhessenek a szükséges egészségügyi szolgáltatásokhoz bármely tagállamban, beleértve a precíziós orvoslás által kínált speciális, célzott kezelé-

[26] Az Európai Parlament és a Tanács 1394/2007/EK rendelete fejlett terápiás gyógyszerkészítményekről, valamint a 2001/83/EK irányelv és a 726/2004/EK rendelet módosításáról (2007. november 13.).

[27] A Bizottság C(2008) 3282. ajánlása az elektronikus egészségügyi nyilvántartó rendszerek határokon átnyúló átjárhatóságáról (2008. július 2.).

[28] Az Európai Unió Tanácsának (2009/C 151/02) ajánlása a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009. június 8.).

[29] Az Európai Parlament és a Tanács 2011/24/EU irányelve a határon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről (2011. március 9.).

seket is. Az irányelv elősegíti az orvosi szakértelem és a legújabb technológiák, például az innovatív diagnosztikai és terápiás megoldások elérését, különösen akkor, ha az adott kezelést a beteg saját országában nem biztosítják. Ez növeli a precíziós kezelésekhöz való hozzáférést és biztosítja, hogy a betegek a legmegfelelőbb, egyénre szabott ellátást kapják, függetlenül a lakóhelyük szerinti tagállamtól.

Az orvostechnikai eszközök innovációjáról szóló 2011/C 202/03 tanácsi következtetések^[30] támogatják az új, fejlett technológiák fejlesztését és alkalmazását az egészségügyi szektorban. A dokumentum hangsúlyozza az innováció szükségességét, hogy az orvostechnikai eszközök megfeleljenek a modern orvoslás követelményeinek. Az innovatív orvostechnikai eszközök, mint például a molekuláris diagnosztikai rendszerek, kulcsszerepet játszanak a precíziós orvoslásban, mivel lehetővé teszik az egyének genetikai és fenotípusos tulajdonságainak pontos felmérését, ezzel biztosítva a személyre szabott kezelési stratégiák alkalmazását. A következtetések támogatják a kutatást és a fejlesztést az orvostechnikai szektorban, amely elősegíti a precíziós orvoslás elterjedését és hatékony alkalmazását az egészségügyi rendszerekben.

A 2011/C 202/04 tanácsi következtetések^[31] a modern, rugalmas és fenntartható egészségügyi rendszerek kialakítását tűzik ki célul, kiemelik az egészségügyi rendszerek fejlesztésének szükségességét a hatékony és egyénre szabott ellátás érdekében. A dokumentum hangsúlyozza az innovatív kezelések integrálásának fontosságát, valamint az egészségügyi rendszerek rugalmasságának növelését, hogy azok alkalmazkodni tudjanak a gyorsan fejlődő orvosi technológiákhoz, mint amilyen a precíziós orvoslás is. A következtetések támogatják az egyénre szabott, célzott kezelési megközelítések bevezetését, valamint az egészségügyi rendszerek átalakítását, hogy fenntartható módon biztosítsák az innovatív terápiákhoz való hozzáférést, ezáltal javítva a betegek egészségügyi ellátását és a kezelések hatékonyságát.

A 2013. december 10-i tanácsi következtetések^[32] hangsúlyozzák a rugalmasság és az innováció fontosságát az egészségügyi rendszerek átalakításában. A dokumentum célja, hogy az egészségügyi rendszerek képesek legyenek alkalmazkodni a technológiai fejlődéshez, továbbá kiemeli az egészségügyi szolgáltatások hatékonyságának és hozzáférhetőségének növelését, amelyek alapvetőek ahhoz, hogy a precíziós orvoslásban rejlő potenciál teljes mértékben kihasználható legyen, különösen a célzott, egyénre szabott kezelések biztosításában és a betegségmegelőzés terén.

A humán gyógyászati termékek klinikai vizsgálatairól szóló 536/2014/EU

[30] Az Európai Unió Tanácsának (2011/C 202/03) következtetése az orvostechnikai eszközök ágazatában megvalósuló innovációról (2011.07.08.).

[31] Az Európai Unió Tanácsának 2011/C 202/04) következtetései a modern, rugalmas és fenntartható egészségügyi rendszerek felé (2011.07.08.).

[32] Az Európai Unió Tanácsának következtetései a modern, rugalmas és fenntartható egészségügyi rendszerekről szóló reflexiós folyamatról (2013.12.10.).

rendelet^[33] harmonizálja és egyszerűsíti a klinikai vizsgálatok engedélyezését és lebonyolítását az EU-ban. A rendelet bevezeti az EU központi portált és adatbázist (*Clinical Trials Information System - CTIS*), amely átláthatóbbá és hatékonyabbá teszi a klinikai vizsgálatok folyamatát. Ez különösen fontos a precíziós orvoslás számára, mivel a célzott terápiák gyakran kisebb betegpopulációkat céloznak, és speciális vizsgálati protokollokat igényelnek. Az egységes és gyorsított engedélyezési folyamat elősegíti az innovatív kezelések fejlesztését és elérhetőségét. Megjegyzendő, hogy a rendelet a teljes alkalmazhatóságához szükség van az uniós központi klinikai vizsgálati portál és adatbázis bevezetésére és működésére, amely 2022. január 31-én indult el. Az új rendelet alkalmazása fokozatosan történik, és a tagállamoknak hároméves átmeneti időszakuk van a régi rendszerből való átállásra, így 2025-től lesz kötelező minden új klinikai vizsgálat esetében.

IV. A PRECÍZIÓS MEDICINÁRA VONATKOZÓ JOGANYAG 2015-TŐL

A 2015/C 421/03 tanácsi következtetések^[34] részletesen elemzik a személyre szabott orvoslás szerepét és jelentőségét az európai egészségügyi rendszerekben. A dokumentum kiemelt figyelmet fordít a páciensek számára nyújtott előnyökre. Hangsúlyozza, hogy a precíziós orvoslás célja az egyének genetikai, fenotípusos és környezeti jellemzőinek felhasználása annak érdekében, hogy a megfelelő terápiás stratégiát a megfelelő időben, a megfelelő személy számára biztosítsák. Ez a megközelítés lehetővé teszi a betegségek korai felismerését, a megelőző intézkedések alkalmazását és a célzott kezelést, amely sokkal hatékonyabb, mint a hagyományos, általános megközelítések.

A tanácsi következtetések egyik fő célkitűzése, hogy a precíziós orvoslás integrálható legyen az egészségügyi rendszerekbe, mivel ez a megközelítés jelentősen hozzájárulhat az ellátás minőségének javításához és a költséghatékonyság növeléséhez. A dokumentum hangsúlyozza a szabályozási környezet egyszerűsítésének és a nemzeti stratégiák kidolgozásának szükségességét, hogy a precíziós medicina széles körben alkalmazható legyen, és az új terápiás lehetőségek minél hamarabb eljussanak a betegekhez.

A dokumentum kiemelt figyelmet fordít a kutatási és fejlesztési tevékenységek előmozdítására, különösen a biomarkerek azonosítására és új diagnosztikai módszerek kifejlesztésére.^[35] Hangsúlyozza a különböző érintett felek, például a kutatási intézmények, gyógyszeripari szereplők és betegképviselői szerve-

[33] Az Európai Parlament és a Tanács 536/2014/EU rendelete az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek klinikai vizsgálatairól és a 2001/20/EK irányelv hatályon kívül helyezéséről (2014. április 16.).

[34] Az Európai Unió Tanácsának 2015/C 421/03 következtetései a betegek számára elérhető, személyre szabott orvoslásról (2015.12.17.).

[35] Bakker et al., 2023.

zetek közötti együttműködés fontosságát annak érdekében, hogy az új terápiás megközelítések hatékonyan beépülhessenek az ellátási folyamatokba. A kutatás támogatása azért is fontos, mert lehetővé teszi a célzott terápiák klinikai validálását és széleskörű alkalmazását, ami alapvető a precíziós orvoslás sikeres bevezetéséhez.

A tanácsi következtetések külön figyelmet szentelnek annak, hogy az egészségügyi információs rendszerek között interoperabilitás valósuljon meg, hiszen az egészségügyi adatok megosztása és hozzáférhetősége alapvető feltétele a precíziós kezelések alkalmazásának. Az interoperábilis rendszerek segítségével az orvosok és a kutatók könnyen hozzáférhetnek a szükséges adatokhoz, ami elősegíti a személyre szabott diagnosztikai és kezelési döntéseket, így növelve a terápiák hatékonyságát.^[36]

Végezetül, a dokumentum célja a precíziós orvoslás szélesebb körű elterjesztése és beépítése az egészségügyi rendszerekbe, hogy a betegek hozzáférhessenek a legújabb innovatív terápiákhoz, különösen azokban az esetekben, ahol a hagyományos kezelések nem biztosítanak kielégítő eredményeket. A tanács felismerte, hogy a precíziós medicina nemcsak a betegek számára jelent előnyt, hanem hozzájárul az egészségügyi rendszerek fenntarthatóságához és rugalmasságához is, mivel célzott és hatékony beavatkozásokat tesz lehetővé.

Az EMA precíziós medicinára vonatkozó jogi természetesen része a GDPR^[37] is, mivel biztosítja a genetikai és egészségügyi adatok feldolgozásának biztonságát és szabályozottságát, ami alapvető fontosságú a precíziós orvoslásban.

2016-ban az EU Tanácsa Bizottság és Gazdaságpolitikai Bizottság közös jelentést^[38] adott ki EU-ban nyújtott egészségügyi és hosszú távú ellátásról. A dokumentum támogatja az egészségügyi rendszerek átalakítását a jobb minőségű, hatékonyabb ellátás érdekében. A következtetések hangsúlyozzák az integrált ellátási modellek fejlesztésének fontosságát, amelyek lehetővé teszik az egyének átfogóbb kezelését és a különböző egészségügyi szolgáltatók közötti jobb együttműködést. Ez az integráció különösen előnyös a precíziós orvoslás számára, mivel a betegek különböző egészségügyi igényeinek figyelembevétele és a személyre szabott kezelések koordinálása csak így valósulhat meg hatékonyan. Emellett a jelentés támogatja a hosszú távú ellátás és a krónikus betegségek kezelésének fejlesztését, amely szintén fontos a precíziós medicina szempontjából, mivel a célzott kezelések javítják a krónikus betegségben szenvedők életminőségét és hosszú távú egészségügyi kimenetelét.

A precíziós medicina szempontjából kiemelkedő jelentőséggel bírt az Európai

[36] Prainsack – Kickbusch, 2024.

[37] A természetes személyeknek a személyes adatok kezelése tekintetében történő védelméről, valamint az adatok szabad áramlásáról szóló 2016/679/EU rendelet.

[38] Európai Bizottság. (2021). Közös jelentés az egészségügyi és hosszú távú gondozási rendszerekről és a költségvetési fenntarthatóságról. Gazdasági és Pénzügyi Főigazgatóság. (Elérhető: https://economy-finance.ec.europa.eu/publications/joint-report-health-care-and-long-term-care-systems-fiscal-sustainability_en).

Bizottság azon lépése, hogy létrehozta az ICPeMed-et (*International Consortium for Personalised Medicine*), ami egy nemzetközi konzorcium, amelynek célja, hogy elősegítse a személyre szabott orvoslás fejlesztését és alkalmazását Európában és világszerte. Az ICPeMed szűkebb célja a kutatások és innovációk támogatása, valamint a legjobb gyakorlatok megosztása, hogy javuljon a betegek ellátása és az egészségügyi rendszerek hatékonysága. Az együttműködés különböző országok és intézmények közötti közös projekteken keresztül valósul meg.

A 2017/C 440/05 tanácsi következtetések^[39] az egészségügy digitalizációjáról és az adatvezérelt innováció előmozdításáról szólnak, és jelentős szerepet játszanak a precíziós orvoslás fejlődésében. A dokumentum hangsúlyozza a digitális technológiák, a big data és az egészségügyi adatok elemzésének fontosságát, amelyek alapvetőek a precíziós orvoslás sikeréhez. Az adatvezérelt innováció segíti az egyénre szabott kezelések kialakítását, hiszen a nagymennyiségű egészségügyi adat elemzésével pontosabb diagnózisok és célzott terápiák fejleszthetők ki. A következtetések kiemelik az interoperabilitás, az egészségügyi adatok megosztása és a digitális alkalmazások fejlesztésének szükségességét, amely elősegíti a személyre szabott ellátáshoz szükséges információk hatékony felhasználását és a betegek bevonását az egészségügyi döntésekbe. Ezzel a dokumentum támogatja a precíziós orvoslás integrációját az egészségügyi rendszerekbe, amely hosszú távon hozzájárul a magasabb színvonalú, személyre szabott ellátáshoz és a betegek jobb egészségügyi kimeneteléhez.

Az európai elektronikus egészségügyi nyilvántartások (EHR) adatcseréjének egységes formátumáról szóló 2019/243/EU bizottsági ajánlás^[40] elősegíti az egészségügyi adatok hatékony megosztását és hozzáférhetőségét az EU-n belül. Az egységes adatcsereformátum lehetővé teszi az egészségügyi információk interoperabilitását a tagállamok között, biztosítva, hogy a betegek orvosi adatai könnyen hozzáférhetők és felhasználhatók legyenek különböző országokban. Ez különösen fontos a precíziós orvoslás számára, amely nagymértékben függ az átfogó és pontos betegadatokról. Az adatok hatékony megosztása segíti a pontosabb diagnózist, a célzott kezelések alkalmazását, és növeli a hatékonyságot az egészségügyi rendszerekben, hozzájárulva a precíziós ellátás minőségének javításához.

A 2019/881/EU rendelet az Európai Unió Kibervédelmi Ügynökségéről (ENISA) és az információs és kommunikációs technológia (IKT) kiberbiztonsági tanúsításáról fontos szerepet játszik a precíziós orvoslás szempontjából, mivel biztosítja az egészségügyi adatok védelmét és a digitális infrastruktúra biztonságát. A precíziós orvoslásban nagy mennyiségű érzékeny adatot, köztük genetikai és egészségügyi információkat kezelnek, amelyek kiberbiztonsági szempontból kiemelt védelmet igényelnek. A rendelet célja az egészségügyi rendszerek

[39] Az Európai Unió Tanácsának 2017/C 440/05. következtetései az egészségügyről a digitális társadalomban (2017.12.21.).

[40] A Bizottság (EU) 2019/243 ajánlása.) az elektronikus egészségügyi dokumentáció európai csereformátumáról (2019. február 6.).

és digitális eszközök kiberbiztonságának megerősítése, hogy a betegek adatai biztonságban legyenek, ezzel növelve a betegek bizalmát az új digitális egészségügyi megoldások, köztük a precíziós orvoslás alkalmazása iránt. Az ENISA támogatja az egységes kiberbiztonsági szabványok kidolgozását, ami elősegíti a biztonságos adatmegosztást és az e-egészségügyi rendszerek biztonságos működését az EU-ban.

Az Európa digitális jövőjének alakításáról szóló 2020/C 202 I/01 tanácsi következtetések támogatják a digitális technológiák fejlesztését és integrálását az egészségügyi rendszerekbe. A dokumentum hangsúlyozza a digitális megoldások, például a mesterséges intelligencia, az adatvezérelt innováció és a big data elemzés szerepét az egészségügy modernizálásában. A dokumentum továbbá kiemeli az interoperabilitás és az adatok szabad áramlásának jelentőségét, amely lehetővé teszi a személyre szabott egészségügyi ellátás széles körű alkalmazását az EU-ban, növelve a kezelések hatékonyságát és a betegellátás minőségét.

Az Európai Bizottság és az Európai Gyógyszerügynökség 2017-ben kiadott, 2020-ban pontosított közös cselekvési terve a fejlett terápiás gyógyszerkészítmények szabályozási környezetének javítására összpontosít, hogy elősegítse a fejlesztéseket és a betegekhez való eljutásukat. A terv célja az adminisztratív terhek csökkentése, a szabályozási folyamatok harmonizálása és a különböző érintett felek közötti együttműködés erősítése. Különös figyelmet fordítanak a gyártási folyamatok specifikus igényeire, az engedélyezési eljárások egyszerűsítésére és a fejlett terápiák fejlesztésének támogatására, beleértve a precíziós medicina területét is. A fejlett terápiák (mint például a génterápiák, sejterápiák és szövettomológiai termékek) célzott szabályozása segít a betegek számára hozzáférhetővé tenni az új, innovatív kezeléseket. Az intézkedések közé tartoznak a jó gyártási gyakorlatra vonatkozó irányelvek kidolgozása, a tagállamok közötti információcsere előmozdítása, valamint a géntechnológiai módosításokra vonatkozó szabályozás harmonizálása. A fejlett terápiás gyógyszerkészítmények fejlesztésében részt vevő kis- és középvállalkozások és tudományos intézmények támogatása érdekében külön intézkedéseket vezettek be, hogy javítsák a fejlett terápiás gyógyszerkészítményekhez való hozzáférést és azok piaci bevezetését. A terv hangsúlyozza a digitális megoldások, például az elektronikus egészségügyi nyilvántartások és az interoperabilitási keretrendszerek fejlesztését, amelyek elősegítik a precíziós medicina alkalmazását. A végrehajtott intézkedések célja a betegek kezelési lehetőségeinek növelése, az innováció és a versenyképesség ösztönzése az EU biotechnológiai szektorában, valamint a fejlett terápiákhoz való hozzáférés biztosítása.

Végezetül kiemelés érdemel az EMA Szabályozási Tudományi Stratégia 2025, amely célja az új tudományos és technológiai fejlődések gyógyszer-értékelési folyamatba való integrálása, beleértve a precíziós medicinát is.^[41] A stratégia az innováció elősegítésére, a betegbevonás növelésére és a valós adatok

[41] European Medicines Agency: Regulatory Science Strategy. (Elérhető: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/regulatory-science-strategy>).

felhasználására koncentrál. Nyilvános konzultáció során több mint 150 résztvevő véleményét vették figyelembe, és a következő lépések magukban foglalják a stratégia véglegesítését és implementálását a tagállamok és az Európai Bizottság bevonásával.

V. ÖSSZEGZÉS

Az „-omikai” módszerek, biomarkerek, farmakometriai elemzések, gépi tanulás és digitális viselhető eszközök integrációja az egészségügybe jelentős átalakító potenciállal bír a precíziós medicina és a betegellátás terén. Ezek a módszerek számos előnyt kínálnak, mint például a diagnosztikai pontosság javítása, a személyre szabott kezelési tervek kidolgozása, valamint a betegmegfigyelés hatékonyságának növelése. A precíziós medicina az egészségügyi rendszer átalakításának hajtóerejeként van jelen az EU-ban, amelyet az Európai Bizottság és az EU Tanácsa külön politikákkal támogat. Vitathatatlan, hogy előbb-utóbb a tagállamok számára is konkrét lépéseket, nagyobb erőfeszítéseket kell majd tenni ezen a területen. Jelenleg a páciensek számára a precíziós módszerekhez való hozzáférést leginkább az EMA központi engedélyeztetési eljárása jelenti, mivel egyetlen eljárással biztosítja a gyógyszerek és terápiák jóváhagyását az egész EU területén, ami időt és erőforrást takarít meg. Ez az egységes szabályozási folyamat csökkenti az adminisztratív terheket, egységesítve a gyógyszerek engedélyezését, és biztosítja a magas minőségi, biztonsági és hatékonysági követelmények betartását minden tagállamban, elősegítve a betegek gyorsabb hozzáférését az új terápiákhoz. Annak érdekében, hogy a páciensek ténylegesen hozzáférhessenek a legmodernebb kezelésekhöz, elengedhetetlen a széles körű „-omikai” vizsgálatok alkalmazása. Azonban ahhoz, hogy ezek a vizsgálatok az EU minden páciense számára elérhetővé váljanak, még hosszú utat kell megtenni.

VI. KÖSZÖNETNYILVÁNÍTÁS

A tanulmány a Bolyai János Kutatási Ösztöndíj támogatásával készült.

IRODALOM

- Bakker, Elisabeth – Starokozhko, Viktoriia – Kraaijvanger, Jet W. M. – Heerspink, Hiddo J. L. – Mol, Peter G. M. (2023): Precision medicine in regulatory decision making: Biomarkers used for patient selection in European Public Assessment Reports from 2018 to 2020. In: *Clinical and Translational Science*. 16(11). DOI: <https://doi.org/10.1111/cts.13641>.

- Beccia, Flavia – Hoxhaj, Ilda – Castagna, Carolina – Strohäker, Timo – Cadeddu, Chiara – Ricciardi, Walter – Boccia, Stefania (2023): An overview of Personalized Medicine landscape and policies in the European Union. In: *European Journal of Public Health*. 32(6).
- Brooks, Stephanie Patricia – Ali-Khan, Sarah – Kowal, Stephanie – Luth, Westerly – Gold, Richard – Bubela, Tania (2016): *Terminology for Personalized Medicine: A Systematic Collection. Technical Report*. (Available at: <https://www.researchgate.net/publication/305377717>).
- Dobi Ágnes – Kószó Renáta Lilla – Besenyi Zsuzsanna – Gion Katalin – Hideghéty Katalin (2022): Precíziós medicina alkalmazása a sugárterápiában. In: *Klinikai Onkológia*. 9(2).
- Kohler, Stefan (2023): From one-size-fits-all to precision medicine: Evolution of healthcare approaches. In: *Frontiers in Medical Sociology*. 14(3).
- Magyar Tudományos Akadémia, Orvosi Tudományok Osztálya (2022): Az MTA Orvosi Tudományok Osztályának állásfoglalása: Tudományos ismereteket gazdagító tudományos, kutatási és innovációs tevékenységek az orvos- és egészségtudományok területén és értékelésük a Magyar Tudományos Akadémia Orvosi Tudományok Osztályán. (Elérhető: <https://mta.hu>).
- Molnár Viktor – Sági Judit Csilla – Molnár Mária Judit (2023): Az érzékeny kutatási adatok megosztása a személyre szabott orvoslás gyakorlatában. In: *Orvosi Hetilap*. 164(21). DOI: <https://doi.org/10.1556/650.2023.32759>.
- Nimmesgern, Elisabeth – Benediktsson, Ingileif – Norstedt, Ingrid (2017): Personalized medicine in Europe. In: *Clinical and Translational Science*. 10(2). DOI: <https://doi.org/10.1111/cts.12434>.
- Nogel Mónika (2022): A precíziós medicina egyes jogi és társadalmi kihívásai a „big genomic data” korában. In: *Információs Társadalom*. XXII. évf., 2022/3. sz. DOI: <https://dx.doi.org/10.22503/inftars.XXII.2022.3.3>.
- OECD (2017): Achieving the promise of precision medicine. In: *New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability*. OECD Publishing, Paris. DOI: <https://doi.org/10.1787/9789264266438-8-en>.
- Prainsack, Barbara – Kickbusch, Ilona (2024): A new public health approach to data: why we need data solidarity. In: *British Medical Journal*. 386, q2076. DOI: <http://dx.doi.org/10.1136/bmj.q2076>.
- Sipka Sándor (2016): Precíziós és perszonalizált medicina. In: *Orvosi Hetilap*. 157(44). DOI: <https://doi.org/10.1556/650.2016.30564>.
- Stenzinger, Albrecht – Moltzen, Ejner K. – Winkler, Eva – Molnar-Gabor, Fruzsina – Malek, Nisar – Costescu, Alexandru – Nybo Jensen, Brigitte – Nowak, Frédérique – Pinto, Carmine – Ottersen, Ole Petter – Schirmacher, Peter – Nordborg, Jenni – Seufferlein, Thomas – Fröhling, Stefan – Edsjö, Anders – Garcia-Foncillas, Jesus – Normanno, Nicola – Lundgren, Bettina – Friedman, Mikaela – Bolanos, Natacha – Tatton-Brown, Katrina – Hill, Sue – Rosenquist, Richard (2023): Implementation of precision medicine in healthcare – A European perspective. In: *Journal of Internal Medicine*. 293(2). DOI: <https://doi.org/10.1111/joim.13698>.

JOGFORRÁSOK

- A Bizottság (EU) 2019/243 ajánlása.) az elektronikus egészségügyi dokumentáció európai csereformátumáról (2019. február 6.).
- A Bizottság ajánlása az elektronikus egészségügyi nyilvántartó rendszerek határokon átnyúló átjárhatóságáról (2009.07.02.).

- A Bizottság C(2008) 3282. ajánlása az elektronikus egészségügyi nyilvántartó rendszerek határokon átnyúló átjárhatóságáról (2008. július 2.).
- A Tanács 2015/C 421/03 következtetései a betegek számára elérhető, személyre szabott orvoslásról (2015.12.17.).
- A természetes személyeknek a személyes adatok kezelése tekintetében történő védelméről, valamint az adatok szabad áramlásáról szóló 2016/679/EU rendelet.
- Az Európai Parlament és a Tanács 1394/2007/EK rendelete fejlett terápiás gyógyszerkészítményekről, valamint a 2001/83/EK irányelv és a 726/2004/EK rendelet módosításáról (2007. november 13.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 141/2000/EK rendelete a ritka betegségek gyógyszerreiről (1999. december 16.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 2001/20/EK irányelve az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel végzett klinikai vizsgálatok során alkalmazandó helyes klinikai gyakorlat bevezetésére vonatkozó tagállami törvényi, rendeleti és közigazgatási rendelkezések közlítéséről (2001. április 4.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 2001/83/EK irányelve az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek közösségi kódexéről (2001. november 6.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 2011/24/EU irányelve a határon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről (2011. március 9.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 536/2014/EU rendelete az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek klinikai vizsgálatairól és a 2001/20/EK irányelv hatályon kívül helyezéséről (2014. április 16.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 726/2004/EK rendelete.) az emberi, illetve állatgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerek engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó közösségi eljárások meghatározásáról és az Európai Gyógyszerügynökség létrehozásáról (2004. március 31.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 95/46/EK irányelve.) a személyes adatok feldolgozása vonatkozásában az egyének védelméről és az ilyen adatok szabad áramlásáról (1995. október 24.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 98/79/EK irányelve az in vitro diagnosztikai orvostechnikai eszközökről (1998. október 27.).
- Az Európai Parlament és a Tanács 98/79/EK irányelve az in vitro diagnosztikai orvostechnikai eszközökről (1998. október 27.).
- Az Európai Unió Tanácsának (2009/C 151/02) ajánlása a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009. június 8.).
- Az Európai Unió Tanácsának (2011/C 202/03) következtetése az orvostechnikai eszközök ágazatában megvalósuló innovációról (2011.07.08.).
- Az Európai Unió Tanácsának 2006/C 146/01következtetései a közös értékekről és elvekről az európai uniós egészségügyi rend- szerekben (2006.06.22.).
- Az Európai Unió Tanácsának 2009/C 151/02 ajánlása a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009.16.08.).
- Az Európai Unió Tanácsának 2011/C 202/04) következtetései a modern, rugalmas és fenntartható egészségügyi rendszerek felé (2011.07.08.).
- Az Európai Unió Tanácsának 2015/C 421/03 következtetései a betegek számára elérhető, személyre szabott orvoslásról (2015.12.17.).
- Az Európai Unió Tanácsának 2017/C 440/05. következtetései az egészségügyről a digitális társadalomban (2017.12.21.).
- Az Európai Unió Tanácsának következtetései a modern, rugalmas és fenntartható egészségügyi rendszerekről szóló reflexiós folyamatról (2013.12.10.).

- Az Európai Unióról szóló szerződés és az Európai Unió működéséről szóló szerződés egységes szerkezetbe foglalt változata 2008/C 115/01 (2008.05.09.).
- Európai Bizottság. (2021). Közös jelentés az egészségügyi és hosszú távú gondozási rendszerekről és a költségvetési fenntarthatóságról. Gazdasági és Pénzügyi Főigazgatóság. (Elérhető: https://economy-finance.ec.europa.eu/publications/joint-report-health-care-and-long-term-care-systems-fiscal-sustainability_en).



Szerényi Gábor grafikája