

32000R0141

L 18/1

ÚŘEDNÍ VĚSTNÍK EVROPSKÝCH SPOLEČENSTVÍ

22.1.2000

**NAŘÍZENÍ EVROPSKÉHO PARLAMENTU A RADY (ES) č. 141/2000  
ze dne 16. prosince 1999  
o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění**

EVROPSKÝ PARLAMENT A RADA EVROPSKÉ UNIE,

s ohledem na Smlouvu o založení Evropského společenství, a zejména na článek 95 této smlouvy,

s ohledem na návrh Komise <sup>(1)</sup>,

s ohledem na stanovisko Hospodářského a sociálního výboru <sup>(2)</sup>,

v souladu s postupem stanoveným v článku 251 Smlouvy <sup>(3)</sup>,

vzhledem k těmto důvodům:

- (1) některá onemocnění se vyskytují tak vzácně, že by náklady na vývoj a uvedení na trh léčivého přípravku pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu onemocnění nebyly pokryty očekávaným prodejem léčivého přípravku; farmaceutický průmysl by nebyl ochoten vyvíjet léčivý přípravek za normálních tržních podmínek; takové léčivé přípravky se v anglickém znění nazývají „orphan medicinal products“;
- (2) pacienti trpící vzácnými onemocněními by měli mít právo na stejnou kvalitu léčby jako ostatní pacienti; je proto nutné podporovat farmaceutický průmysl ve výzkumu, vývoji a uvádění na trh příslušných léků; pobídky vývoje léčivých přípravků pro vzácná onemocnění existují ve Spojených státech amerických od roku 1983 a v Japonsku od roku 1993;
- (3) v Evropské unii byla přijata až dosud jen omezená opatření, ať na vnitrostátní úrovni nebo na úrovni Společenství, k podpoře vývoje léčivých přípravků pro vzácná onemocnění; takové opatření je nejlépe přijmout na úrovni Společenství, aby se využilo nejširšího možného trhu a aby se

zamezilo rozptýlení omezených zdrojů; opatření na úrovni Společenství jsou výhodnější než nekoordinovaná opatření členských států, která mohou vést k narušení hospodářské soutěže a překážkám obchodu uvnitř Společenství;

- (4) léčivé přípravky pro vzácná onemocnění přicházející v úvahu pro pobídky by měly být snadno a jasně stanoveny; jako nejvhodnější se jeví dosáhnout tohoto výsledku vytvořením otevřeného a transparentního postupu Společenství pro stanovování potenciálních léčivých přípravků jako léčivých přípravků pro vzácná onemocnění;
- (5) měla by být vytvořena objektivní kritéria pro stanovování; tato kritéria by měla být založena na prevalenci onemocnění, pro něž je diagnostika, prevence nebo léčba požadována; prevalence ne více než pět postižených osob z 10 000 je obecně považována za vhodnou prahovou hodnotu; léčivé přípravky určené pro život ohrožující, závažně invalidizující nebo závažná a chronická onemocnění by měly přicházet v úvahu, i když je prevalence vyšší než pět z 10 000;
- (6) měl by být zřízen výbor složený z odborníků jmenovaných členskými státy pro posuzování žádostí o stanovení; v tomto výboru by měli být také tři zástupci asociací pacientů jmenovaní Komisí a tři další osoby také jmenované Komisí na doporučení Evropské agentury pro hodnocení léčivých přípravků (dále jen „agentura“); agentura by měla být odpovědná za přiměřenou koordinaci mezi Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění a Výborem pro hromadně vyráběné léčivé přípravky;
- (7) pacienti s takovými onemocněními si zaslouží stejnou jakost, účinnost a bezpečnost léčivých přípravků jako ostatní pacienti; léčivé přípravky pro vzácná onemocnění by měly být proto předloženy k normálnímu procesu hodnocení; sponzoři léčivých přípravků pro vzácná onemocnění by měli mít možnost získat registraci Společenství; pro usnadnění udělení nebo udržování registrace Společenství by mělo být upuštěno alespoň částečně od poplatků, které se platí agentuře; takto vzniklá ztráta příjmů by měla být agentuře kompenzována z rozpočtu Společenství;

<sup>(1)</sup> Úř. věst. C 276, 4.9.1998, s. 7.

<sup>(2)</sup> Úř. věst. C 101, 12.4.1999, s. 37.

<sup>(3)</sup> Stanovisko Evropského parlamentu ze dne 9. března 1999 (Úř. věst. C 175, 21.6.1999, s. 61), společný postoj Rady ze dne 27. září 1999 (Úř. věst. C 317, 4.11.1999, s. 34) a rozhodnutí Evropského parlamentu ze dne 15. prosince 1999 (dosud nezveřejněno v Úředním věstníku).

(8) zkušenost ve Spojených státech amerických a Japonsku ukazuje, že nejsilnější pobídkou pro průmysl, aby investoval do vývoje a uvádění na trh léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, je existence výhledu na získání výhradního práva na trhu na určitý počet let, během nichž může být část investic nahrazena; ochrana údajů podle čl. 4 bodu 8 písm. a) bodu iii) směrnice Rady 65/65/EHS ze dne 26. ledna 1965 o sblížení právních a správních předpisů týkajících se léčivých přípravků<sup>(1)</sup> není dostatečnou pobídkou pro tento účel; členské státy jednající nezávisle nemohou zavést takové opatření bez úrovně Společenství, protože takové ustanovení by odporovalo směrnici 65/65/EHS; pokud by byla taková opatření přijata členskými státy nekoordinovaným způsobem, vytvořilo by to překážky obchodu uvnitř Společenství vedoucí k narušení hospodářské soutěže a k působení proti jednotnému trhu; výhradní právo na trhu by však mělo být omezeno na léčebnou indikaci, pro kterou byl léčivý přípravek stanoven jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, aniž jsou dotčena existující práva duševního vlastnictví; v zájmu pacientů by nemělo výhradní právo na trhu udělené léčivému přípravku pro vzácná onemocnění bránit uvedení na trh podobného léčivého přípravku, který by mohl přinést významný užitek těm, kteří jsou postiženi onemocněním;

(9) sponzoři léčivých přípravků pro vzácná onemocnění stanovených podle tohoto nařízení by měli být oprávněni plně využít jakékoli pobídky udělené Společenstvím nebo členskými státy pro podporu výzkumu a vývoje léčivých přípravků pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu takových onemocnění včetně vzácných nemocí;

(10) zvláštní program Biomed 2 čtvrtého rámcového programu pro výzkum a technologický vývoj (1994 až 1998) podpořil výzkum léčby vzácných nemocí, včetně metodik pro rychlá schémata pro vývoj léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a soupisů léčivých přípravků pro vzácná onemocnění dostupných v Evropě; uvedené granty byly určeny k podpoře vytvoření mezinárodní spolupráce za účelem provádění základního a klinického výzkumu vzácných nemocí; výzkum vzácných nemocí je nadále prioritou Společenství, protože byl zařazen do pátého rámcového programu pro výzkum a technologický vývoj (1998 až 2002); toto nařízení vytváří právní rámec, který umožní rychlé a účinné provádění výsledků tohoto výzkumu;

(11) vzácné nemoci byly určeny jako prioritní oblast pro opatření Společenství v rámci opatření v oblasti ochrany veřejného zdraví; Komise ve svém sdělení týkajícím se programu opatření Společenství pro vzácné nemoci v rámci opatření v oblasti veřejného zdraví rozhodla, že dá vzácným nemocím prioritu v rámci ochrany veřejného zdraví;

Evropský parlament a Rada přijaly rozhodnutí č. 1295/1999/ES ze dne 29. dubna 1999, kterým se přijímá program Společenství pro vzácné nemoci v rámci opatření v oblasti ochrany veřejného zdraví (1999 až 2003)<sup>(2)</sup>, včetně opatření pro poskytování informací, pro zvládání skupin vzácných nemocí v populaci a pro podporu příslušných organizací pacientů; toto nařízení provádí jednu z priorit stanovenou v tomto programu opatření,

PŘIJALA TOTO NAŘÍZENÍ:

## Článek 1

### Účel

Účelem tohoto nařízení je stanovit postup Společenství pro stanovování léčivých přípravků jako léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a poskytnout pobídky pro výzkum, vývoj a uvádění na trh stanovených léčivých přípravků pro vzácná onemocnění.

## Článek 2

### Definice

Pro účely tohoto nařízení se rozumí

- „léčivým přípravkem“ humánní léčivý přípravek tak, jak je definován v článku 2 směrnice 65/65/EHS;
- „léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění“ léčivý přípravek stanovený jako takový podle podmínek tohoto nařízení;
- „sponzorem“ jakákoli právnická nebo fyzická osoba se sídlem ve Společenství, která se uchází o stanovení nebo které již byl stanoven léčivý přípravek jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění;
- „agenturou“ Evropská agentura pro hodnocení léčivých přípravků.

## Článek 3

### Kritéria pro stanovování

1. Léčivý přípravek se stanoví jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, jestliže sponzor může prokázat, že

- je určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu život ohrožujícího nebo chronicky invalidizujícího onemocnění postihujícího v okamžiku podání žádosti ne více než pět z 10 000 osob ve Společenství, nebo

je určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu život ohrožujícího, závažně invalidizujícího nebo závažného a chronického onemocnění ve Společenství a že bez pobídek je nepravděpodobné, že by uvedení léčivého přípravku na trh ve Společenství vytvořilo dostatečný zisk pro odůvodnění nezbytných investic;

<sup>(1)</sup> Úř. věst. 22, 9.2.1965, s. 369. Směrnice naposledy pozměněná směrnicí 93/39/EHS (Úř. věst. L 214, 24.8.1993, s. 22).

<sup>(2)</sup> Úř. věst. L 155, 22.6.1999, s. 1.

- a
- b) neexistuje uspokojivý způsob diagnostiky, prevence nebo léčby daného onemocnění registrovaný ve Společenství nebo, pokud takový způsob existuje, že léčivý přípravek přinese významný užitek těm, kteří jsou postiženi daným onemocněním.
2. Komise přijme ustanovení nezbytná pro provedení tohoto článku formou prováděcího nařízení v souladu s postupem stanoveným v článku 72 nařízení Rady (EHS) č. 2309/93 <sup>(1)</sup>.

#### Článek 4

##### Výbor pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění

1. V rámci agentury se zřizuje Výbor pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění (dále jen „výbor“).
2. Úkolem výboru je
- posoudit každou žádost o stanovení léčivého přípravku jako léčivého přípravku pro vzácná onemocnění, která je mu předložena podle tohoto nařízení;
  - radit Komisi při vytváření a vývoji politiky Evropské unie pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění;
  - pomáhat Komisi při mezinárodních jednáních v oblastech týkajících se léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a při jednáních se skupinami podporujícími pacienty;
  - pomáhat Komisi při vypracování podrobných pokynů.
3. Výbor se skládá z jednoho člena určeného každým členským státem, tří členů určených Komisí, aby zastupovali organizace pacientů, a tří členů určených Komisí na základě doporučení agentury. Členové výboru jsou jmenováni na období tří let, které může být prodlouženo. Mohou být provázeni odborníky.
4. Výbor si zvolí předsedu na období tří let, které může být jednou prodlouženo.
5. Zástupci Komise a výkonný ředitel agentury nebo jeho zástupce se mohou účastnit všech schůzí výboru.
6. Agentura poskytne výboru sekretariát.
7. Od členů výboru se i po ukončení jejich povinností požaduje, aby neprozradili žádnou informaci, na niž se vztahuje profesní tajemství.

#### Článek 5

##### Postup pro stanovování a odstranění z registru

1. Aby byl léčivý přípravek stanoven jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, předloží sponzor agentuře žádost v jakémkoli

stadiu vývoje léčivého přípravku před podáním žádosti o registraci.

2. K žádosti se přiloží tyto údaje a dokumentace
- jméno nebo název společnosti a stálá adresa sponzora,
  - účinné látky léčivého přípravku,
  - navržená léčebná indikace,
  - odůvodnění, že jsou splněna kritéria stanovená v čl. 3 odst. 1 a popis stadia vývoje včetně předpokládaných indikací.
3. Komise vypracuje po konzultaci s členskými státy, agenturou a zainteresovanými stranami podrobné pokyny pro požadovaný formát a obsah žádostí o stanovení.
4. Agentura ověří platnost žádosti a připraví výboru souhrnnou zprávu. V případě potřeby může požádat sponzora o doplnění údajů a dokumentace přiložených k žádosti.
5. Agentura zajistí, aby výbor vydal stanovisko do 90 dnů od přijetí platné žádosti.
6. Výbor se při přípravě stanoviska snaží dosáhnout shody. Není-li možno shody dosáhnout, přijímá se stanovisko dvoutřetinovou většinou hlasů členů výboru. Stanovisko lze získat písemným postupem.
7. Zaujme-li výbor stanovisko, že žádost nesplňuje kritéria stanovená v čl. 3 odst. 1, informuje agentura neprodleně sponzora. Do 90 dnů od obdržení stanoviska může sponzor předložit podrobně zdůvodněné odvolání, které předloží agentura výboru. Výbor na příští schůzi zváží, jestli má být jeho stanovisko přehodnoceno.
8. Agentura neprodleně předá konečné stanovisko výboru Komisi, která přijme rozhodnutí do 30 dnů od přijetí stanoviska. Pokud za výjimečných okolností není návrh rozhodnutí v souladu se stanoviskem výboru, přijme se rozhodnutí podle postupu stanoveného v článku 73 nařízení (EHS) č. 2309/93. Rozhodnutí je oznámeno sponzorovi a sděleno agentuře a příslušným orgánům členských států.
9. Stanovený léčivý přípravek se zapíše do registru Společenství pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění.
10. Každý rok předloží sponzor agentuře zprávu o stavu vývoje stanoveného léčivého přípravku.

11. Pro převod stanovení léčivého přípravku pro vzácná onemocnění na jiného sponzora předloží držitel stanovení zvláštní žádost agentuře. Po konzultaci s členskými státy, agenturou a zainteresovanými stranami vypracuje Komise podrobné pokyny pro formu, v jaké se žádosti o převedení předkládají, obsah takových žádostí a všechny údaje o novém sponzorovi.

<sup>(1)</sup> Úř. věst. L 214, 24.8.1993, s. 1. Nařízení ve znění nařízení Komise (ES) č. 649/98 (Úř. věst. L 88, 24.3.1998, s. 7).

12. Stanovený léčivý přípravek pro vzácná onemocnění se odstraní z registru Společenství pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění

- a) na žádost sponzora,
- b) je-li před udělením registrace zjištěno, že kritéria stanovená v článku 3 již nejsou s ohledem na daný léčivý přípravek splněna,
- c) na konci období výhradního práva na trhu, jak je stanoveno v článku 8.

#### Článek 6

##### Pomoc při přípravě protokolu

1. Sponzor léčivého přípravku pro vzácná onemocnění může před předložením žádosti o registraci požádat agenturu o radu k provádění různých zkoušek a hodnocení nezbytných pro prokázání jakosti, bezpečnosti a účinnosti léčivého přípravku podle čl. 51 písm. j) nařízení (EHS) č. 2309/93.
2. Agentura vypracuje postup pro vývoj léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, zahrnující regulační podporu při vymezení obsahu žádosti o registraci ve smyslu článku 6 nařízení (EHS) č. 2309/93.

#### Článek 7

##### Registrace Společenství

1. Osoba odpovědná za uvedení léčivého přípravku pro vzácná onemocnění na trh může požádat, aby byla registrace léčivého přípravku udělena Společenstvím v souladu s ustanoveními nařízení (EHS) č. 2309/93, aniž by musela zdůvodnit, že léčivý přípravek vyhovuje podmínkám části B přílohy tohoto nařízení.
2. Zvláštní příspěvek Společenství, odlišný od příspěvku podle článku 57 nařízení (EHS) č. 2309/93, bude každý rok přidělen agentuře. Příspěvek použije agentura výhradně k částečnému nebo úplnému upuštění od všech poplatků splatných podle pravidel Společenství přijatých podle nařízení (EHS) č. 2309/93. Podrobnou zprávu o použití tohoto zvláštního příspěvku předloží výkonný ředitel agentury na konci každého roku. Jakýkoli přebytek vzniklý v daném roce se převede a odečte od zvláštního příspěvku pro následující rok.
3. Registrace udělená léčivému přípravku pro vzácná onemocnění pokrývá jen ty léčebné indikace, které splňují kritéria stanovená v článku 3. Tím není dotčena možnost

požádat o oddělenou registraci pro další indikace mimo oblast působnosti tohoto nařízení.

#### Článek 8

##### Výhradní právo na trhu

1. Pokud je udělena registrace s ohledem na léčivý přípravek pro vzácná onemocnění podle nařízení (EHS) č. 2309/93 nebo pokud udělí registraci všechny členské státy v souladu s postupy pro vzájemné uznávání stanovenými články 7 a 7a směrnice 65/65/EHS nebo čl. 9 odst. 4 směrnice 75/319/EHS ze dne 20. května 1975 o sblížení právních a správních předpisů týkajících se léčivých přípravků<sup>(1)</sup> a aniž jsou dotčeny předpisy o duševním vlastnictví nebo jakákoli jiná ustanovení právních předpisů Společenství, Společenství a členské státy nepřijmou po dobu 10 let jinou žádost o registraci ani neudělí registraci ani nepřijmou žádost o rozšíření stávající registrace pro stejnou léčebnou indikaci s ohledem na podobný léčivý přípravek.
2. Tato doba však může být zkrácena na 6 let, pokud na konci pátého roku je s ohledem na daný léčivý přípravek potvrzeno, že kritéria stanovená v článku 3 již nejsou splněna, pokud je mimo jiné prokázáno na základě dostupných důkazů, že je přípravek dostatečně výnosný, takže zachování výhradního práva na trhu není odůvodnitelné. V této souvislosti bude členský stát informovat agenturu, že kritérium, na jehož základě bylo uděleno výhradní právo na trhu, možná není splněno, a agentura pak zahájí postup podle článku 5. Sponzor poskytne agentuře informace nezbytné pro tento účel.
3. Odchylně od odstavce 1 a bez dotčení předpisů o duševním vlastnictví nebo jakýchkoli jiných ustanovení právních předpisů Společenství lze registraci udělit pro stejnou léčebnou indikaci podobnému léčivému přípravku, jestliže
  - a) držitel rozhodnutí o registraci původního léčivého přípravku pro vzácná onemocnění dá souhlas druhému žadateli, nebo
  - b) držitel rozhodnutí o registraci původního léčivého přípravku pro vzácná onemocnění není schopen dodávat dostatečné množství léčivého přípravku, nebo
  - c) druhý žadatel může v žádosti prokázat, že druhý léčivý přípravek, třebaže je podobný již registrovanému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění, je bezpečnější, účinnější nebo jinak klinicky nadřazený.
4. Komise přijme definici „podobného léčivého přípravku“ a „klinické nadřazenosti“ formou prováděcího nařízení v souladu s postupem stanoveným v článku 72 nařízení (EHS) č. 2309/93.
5. Komise vypracuje podrobné pokyny pro použití tohoto článku po konzultaci s členskými státy, agenturou a zainteresovanými stranami.

(1) Úř. věst. L 147, 9.6.1975, s. 13. Směrnice naposledy pozměněná směrnicí Rady 93/39/EHS (Úř. věst. L 214, 24.8.1993, s. 22).

## Článek 9

**Jiné pobídky**

1. Léčivé přípravky stanovené jako léčivé přípravky pro vzácná onemocnění podle ustanovení tohoto nařízení mohou získat pobídky poskytnuté Společenstvím a členskými státy pro podporu výzkumu, vývoje a dostupnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a zejména pomoc pro výzkum pro malé a střední podniky podle rámcových programů pro výzkum a technický rozvoj.

2. Před 22. červencem 2000 sdělí členské státy Komisi podrobné informace týkající se jakýchkoli opatření, která přijaly pro podporu výzkumu, vývoje a dostupnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění nebo léčivých přípravků, které mohou být jako takové stanoveny. Uvedené informace se pravidelně aktualizují.

3. Před 22. lednem 2001 zveřejní Komise podrobný soupis všech pobídek poskytnutých Společenstvím a členskými státy pro podporu výzkumu,

vývoje a dostupnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění. Uvedený soupis se pravidelně aktualizuje.

## Článek 10

**Obecná zpráva**

Před 22. lednem 2006 zveřejní Komise obecnou zprávu o zkušenostech získaných v důsledku používání tohoto nařízení společně se zprávou o užítku pro veřejné zdraví, kterého bylo dosaženo.

## Článek 11

**Vstup v platnost**

Toto nařízení vstupuje v platnost dnem vyhlášení v *Úředním věstníku Evropských společenství*.

Je použitelné ode dne přijetí prováděcích nařízení uvedených v čl. 3 odst. 2 a čl. 8 odst. 4.

Toto nařízení je závazné v celém rozsahu a přímo použitelné ve všech členských státech.

V Bruselu dne 16. prosince 1999.

*Za Evropský parlament*

*předsedkyně*

N. FONTAINE

*Za Radu*

*předseda*

K. HEMILÄ