

Pokyny týkající se aspektů použití čl. 8 odst. 1 a 3 nařízení (ES) č. 141/2000: Posouzení podobnosti léčivých přípravků s registrovanými léčivými přípravky pro vzácná onemocnění, které mají výhradní právo na trhu, a uplatnění výjimek z tohoto výhradního práva na trhu

(2008/C 242/08)

1. ÚVOD

Ustanovení čl. 8 odst. 5 nařízení (ES) č. 141/2000 požaduje, aby Komise vypracovala podrobné pokyny pro použití článku 8 uvedeného nařízení. Tyto pokyny splňují část uvedeného požadavku tím, že poskytují vysvětlení k použití čl. 8 odst. 1 a čl. 8 odst. 3 uvedeného nařízení.

Tyto pokyny je třeba číst ve spojení s:

- nařízením Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění,
- nařízením Komise (ES) č. 847/2000, kterým se stanoví prováděcí pravidla ke kritériím pro stanovení léčivého přípravku jako léčivého přípravku pro vzácná onemocnění a definice pojmů „podobný léčivý přípravek“ a „klinická nadřazenost“,
- sdělením Komise o nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění⁽¹⁾ (dále jen „sdělení Komise“).

Podle čl. 8 odst. 1 nařízení (ES) č. 141/2000, pokud je udělena registrace s ohledem na léčivý přípravek pro vzácná onemocnění buď centralizovaným postupem nebo ve všech členských státech, 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 (tzv. desetileté výhradní právo na trhu)**⁽²⁾. Na případy „žádost o registraci“ a „žádost o rozšíření stávající registrace“ bude v tomto dokumentu dále odkazováno společně jako na „žádost o registraci“.

Pokud jde o čl. 8 odst. 1, poskytují tyto pokyny vysvětlení k těmto otázkám:

Jaká jsou relevantní kritéria pro posouzení podobnosti léčivého přípravku? Viz kapitola 2 níže.

Jaký postup používají příslušné orgány pro posouzení podobnosti? Viz kapitola 3 níže.

Ustanovení čl. 8 odst. 3 nařízení (ES) č. 141/2000 popisuje tři typy výjimek z výhradního práva na trhu, které stanoví čl. 8 odst. 1 uvedeného nařízení: a) souhlas původního držitele rozhodnutí o registraci; b) původní držitel rozhodnutí o registraci není schopen dodávat dostatečné množství; c) druhý léčivý přípravek je bezpečnější, účinnější nebo jinak klinicky nadřazený.

⁽¹⁾ Úř. věst. C 178, 29.7.2003, s. 2.

⁽²⁾ Nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 1901/2006 ze dne 12. prosince 2006 o léčivých přípravcích pro pediatrické použití a o změně nařízení (EHS) č. 1768/92, směrnice 2001/20/ES, směrnice 2001/83/ES a nařízení (ES) č. 726/2004 (Úř. věst. L 378, 27.12.2006, s. 1) stanoví, že pro léčivé přípravky označené jako léčivé přípravky pro vzácná onemocnění se desetiletá doba uvedená v čl. 8 odst. 1 nařízení (ES) č. 141/2000 prodlouží na dvanáct let, pokud jsou splněna zvláštní kritéria pediatrického nařízení (viz článek 37 uvedeného nařízení).

Pokud jde o čl. 8 odst. 3 nařízení (ES) č. 141/2000, poskytují tyto pokyny vysvětlení k těmto otázkám:

Jaký je příslušný postup pro posouzení toho, zda se uplatní jedna z těchto výjimek? Viz kapitola 3 níže.

2. OBECNÉ ZÁSADY PRO POSOUZENÍ PODOBNOSTI

Článek 3 nařízení Komise (ES) č. 847/2000 stanoví tyto definice:

- „podobným léčivým přípravkem“ se rozumí léčivý přípravek obsahující **účinnou látku** nebo látky **podobné** těm, které obsahuje v současnosti registrovaný léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, a stanovený pro **stejnou léčebnou indikaci**,
- „podobnou účinnou látkou“ se rozumí totožná účinná látka nebo účinná látka se **stejnou hlavní charakteristikou molekulové struktury** (ale ne nezbytně všemi stejnými charakteristikami molekulové struktury), která účinkuje **stejným mechanismem**. Nařízení Komise (ES) č. 847/2000 pak uvádí konkrétní příklady,
- „účinnou látkou“ se rozumí látka s fyziologickým nebo farmakologickým účinkem.

Na základě definic stanovených v článku 3 nařízení (ES) č. 847/2000 se při posouzení podobnosti mezi dvěma léčivými přípravky podle článku 8 nařízení (ES) č. 141/2000 přihlíží k hlavní charakteristice molekulové struktury, mechanismu účinku a léčebné indikaci. Jestliže existují výrazné rozdíly, pokud jde o jedno nebo několik z těchto kritérií, pak dané dva přípravky nebudou považovány za podobné. Tato tři kritéria jsou podrobněji vysvětlena níže.

Mezinárodní nechráněné názvy (INN) mohou poskytnout předběžné informace při posuzování podobnosti hlavní charakteristiky molekulové struktury a mechanismu účinku. V systému INN mohou názvy farmakologicky příbuzných látek naznačovat svoji příbuznost tím, že používají společnou příponu nebo společný slovní kmen.

2.1 Stejná hlavní charakteristika molekulové struktury

Při posuzování charakteristiky molekulové struktury účinné látky je třeba zohlednit níže uvedené obecné úvahy (ovšem pro makromolekuly a obzvláště komplexní biologické léčivé přípravky nemusí být všechny tyto úvahy vhodné).

Žadatel by měl prokázat navrhovanou strukturu molekuly takto:

- pokud je to možné, doklady pro znázornění struktury by měly být shrnuty v jednoznačných dvou- a trojrozměrných grafických zobrazeních,
- pokud je to možné, účinná látka by měla být přesně popsána s využitím systematické terminologie, např. názvosloví IUPAC ⁽¹⁾ nebo CAS ⁽²⁾,
- pokud má účinná látka doporučený název INN, měly by být poskytnuty údaje o struktuře a zprávy Světové zdravotnické organizace.

Pokud některá z výše uvedených informací nebyla poskytnuta nebo není k dispozici, je třeba to zdůvodnit.

Na základě důkazů by měla být popsána hlavní charakteristika molekulové struktury přípravku a měla by být srovnána s hlavní charakteristikou molekulové struktury registrovaného léčivého přípravku pro vzácná onemocnění. Je třeba upozornit na to, že některé zjištěné rozdíly ve struktuře se mohou v krystalickém stavu molekuly jevit větší (např. na základě údajů z rentgenových snímků). Jelikož však molekuly uplatňují svůj biologický účinek v roztoku, tyto rozdíly zjištěné v krystalickém stavu nemusí mít pro posouzení podobnosti význam.

Pro měření stupně podobnosti mezi strukturou molekul lze použít počítačové programy; mnohé z nich umožňují funkci „vyhledávání podobnosti“ pro určení molekul, jež vykazují společné nebo podobné znaky v molekulární stavbě (dvou- nebo trojrozměrné zobrazení).

2.2 Stejný mechanismus účinku

Mechanismus účinku účinné látky je funkční popis vzájemného působení látky a farmakologického cíle, které vyvolává farmakodynamický účinek. Pokud mechanismus účinku není zcela znám, žadatel bude muset prokázat, že tyto dvě účinné látky neúčinkují stejným mechanismem.

Dvě účinné látky mohou být považovány za látky se **stejným mechanismem účinku** jen tehdy, pokud mají *obě* tentýž farmakologický cíl a tentýž farmakodynamický účinek.

Faktory, které nejsou relevantní pro mechanismus účinku, jsou rozdíly mezi dvěma látkami, pokud jde o:

- způsob podání,
- farmakokinetické vlastnosti,
- účinnost, nebo
- distribuci cíle v tkáních.

U prekurzoru léku se předpokládá, že má stejný mechanismus účinku jako jeho účinný metabolit.

⁽¹⁾ Zkratka IUPAC označuje International Union of Pure and Applied Chemistry (Mezinárodní unie pro čistou a užitou chemii).

⁽²⁾ CAS označuje Chemical Abstracts Service, což je oddělení Americké chemické společnosti (American Chemical Society).

Farmakologický cíl je obvykle receptor, enzym, kanál, nosič nebo proces nitrobuňčného spojování.

Farmakodynamický účinek je působení účinné látky na tělo (např. bradykardie). Pro účely posouzení podobnosti druhého přípravku s registrovaným léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění je *primárním* farmakodynamickým účinkem účinné látky, který určuje léčebnou indikaci, farmakodynamický účinek týkající se „mechanismu účinku“.

Dvě látky se stejným farmakologickým cílem mohou vyvolávat různý farmakodynamický účinek v závislosti na umístění cíle nebo na tom, zda je cíl aktivovaný či inhibovaný.

Dvě účinné látky se stejným farmakodynamickým účinkem mohou působit na různé farmakologické cíle. Pokud tyto dvě účinné látky působí na několik cílů (včetně subtypů téhož receptoru) a *mají alespoň jeden společný cíl*, je třeba zjistit, zda společný cíl/společné cíle objasňuje/objasňují primární farmakodynamické účinky, které určují léčebnou indikaci ⁽³⁾.

2.3 Stejná léčebná indikace

Léčebná indikace léčivého přípravku pro vzácná onemocnění je stanovena v rámci registrace a musí se týkat vzácného onemocnění, pro něž byla stanovena (případně i dalších onemocnění) (srov. oddíl C.1 sdělení Komise).

Pokud byla léčivému přípravku pro vzácná onemocnění udělena registrace pro indikaci, která je podskupinou stanoveného vzácného onemocnění, v žádosti o registraci druhého přípravku, o němž se tvrdí, že je určen pro jinou léčebnou indikaci, a tím pro jinou podskupinu téhož stanoveného vzácného onemocnění, bude muset být prokázáno, že rozdíl mezi těmito dvěma podskupinami je klinicky významný. Pokud se cílové populace dvou údajně rozdílných léčebných indikací překrývají, druhý žadatel by musel příslušnému orgánu poskytnout odhad rozsahu tohoto překrytí. Rozsah překrytí bude pro příslušný orgán významným faktorem při posouzení toho, zda jsou tyto dvě léčebné indikace rozdílné, jak se tvrdí.

3. POSTUP POSOUZENÍ PODOBNOSTI A UPLATNĚNÍ VÝJIMEK STANOVENÝCH V ČL. 8 ODS. 3

3.1 Příslušný orgán

Podle čl. 8 odst. 1 nařízení (ES) č. 141/2000 **Společenství a členské státy** nepřijmou po dobu 10 let žádost o registraci pro léčivý přípravek (dále také „druhý přípravek“), který je podobný registrovanému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění (dále také „první přípravek“).

⁽³⁾ Například u atenololu a propranololu by se předpokládalo, že mají stejný mechanismus účinku, pokud jde o jejich indikaci u hypertenze, i když mají jinou selektivitu a účinnost na úrovni β_1 - a β_2 -receptorů. Naopak například u carvedilolu a metoprololu by se nepředpokládalo, že mají stejný mechanismus: přestože oba blokují β -receptory, jejich mechanismy účinku se při léčbě závažných kongestivních srdečních selhání rozlišují, jelikož carvedilol blokuje navíc i α -receptory.

Príslušný orgán pro provedení posouzení podobnosti a případně pro posouzení toho, zda jsou splněna kritéria pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3, (dále jen „příslušný posuzující orgán“) se určí na základě postupu, jakým probíhá registrace druhého přípravku. Druhý léčivý přípravek může být registrován buď na vnitrostátní úrovni (kromě léčivých přípravků pro vzácná onemocnění ⁽¹⁾) nebo na centrální úrovni (léčivé přípravky pro vzácná onemocnění i jiné léčivé přípravky).

Pro žádosti o **centralizovanou** registraci druhého přípravku, který je třeba srovnat s registrovaným léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění, je příslušným posuzujícím orgánem agentura.

Pro žádosti podané v rámci **vnitrostátního postupu, postupu vzájemného uznávání nebo decentralizovaného postupu** je (jsou) příslušným posuzujícím orgánem (příslušnými posuzujícími orgány) příslušný vnitrostátní orgán (příslušné vnitrostátní orgány).

3.2. Validace

Žadatel o registraci („druhého“) přípravku, který by mohl být podobný registrovanému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění („prvnímu přípravku“), bude muset předložit příslušné podklady obsahující jeho hodnocení podobnosti druhého přípravku s prvním přípravkem a případně zdůvodnění pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3 (viz kapitola 3.3 „Informace, které musí žadatel předložit“ a kapitola 3.4 „Určení relevantních přípravků...“).

Žádost pro druhý přípravek bude validována příslušným posuzujícím orgánem, pokud tyto podklady/zdůvodnění budou součástí žádosti. Žadatelé by si měli být vědomi toho, že validace se zakládá na formální kontrole (zda byly předloženy veškeré příslušné dokumenty), ale nelze z ní vyvozovat žádná závěry ohledně výsledku posouzení obsahu jejich žádosti.

Pokud se žádost týká generika, předpokládá se podobnost. Žádost proto nemůže být potvrzena před uplynutím doby platnosti výhradního práva na trhu, pokud neobsahuje zdůvodnění pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3.

3.3 Informace, které musí žadatel předložit

Informace týkající se možné „podobnosti“ a případně zdůvodnění pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3 nařízení č. 141/2000 by měly být předloženy v rámci modulu 1.7 žádosti o registraci.

3.3.1 Podobnost

Pokud jde o **podobnost**, do modulu 1.7.1 by měla být zahrnuta zpráva, která obsahuje srovnání přípravku s registrovanými léčivými přípravky pro vzácná onemocnění z hlediska podobnosti, jak je definována v čl. 3 odst. 3 nařízení (ES) č. 847/2000,

⁽¹⁾ S platností od 20. listopadu 2005 smějí být léčivé přípravky, které jsou stanoveny jako léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, registrovány pouze centralizovaným postupem (čl. 3 odst. 1 nařízení (ES) č. 726/2004). Druhý přípravek tedy smí být registrován na vnitrostátní úrovni pouze tehdy, pokud se nejedná o léčivý přípravek pro vzácná onemocnění.

a závěr o podobnosti či „nepodobnosti“ na základě tří kritérií pro posouzení podobnosti:

- charakteristika molekulové struktury,
- mechanismus účinku a
- léčebná indikace.

Zvláštní důraz by měl být kladen na vysvětlení prvních dvou kritérií. Pokud žadatel tvrdí, že dané dva přípravky si nejsou podobné, měl by poskytnout argumenty na podporu svého tvrzení.

3.3.2 Výjimky

Jako doklad pro uplatnění **jedné z výjimek** stanovených v čl. 8 odst. 3 písm. a) až c) uvedeného nařízení by měly být v modulu 1.7.2 předloženy příslušné následující informace:

3.3.2.1 Čl. 8 odst. 3 písm. a)

Jestliže držitel rozhodnutí o registraci původního léčivého přípravku pro vzácná onemocnění dal **souhlas** druhému žadateli:

Dopis podepsaný držitelem registrace léčivého přípravku pro vzácná onemocnění potvrzující jeho souhlas s tím, aby druhý žadatel podal žádost o registraci, v souladu s čl. 8 odst. 3 písm. a) nařízení (ES) č. 141/2000.

3.3.2.2 Čl. 8 odst. 3 písm. b)

Jestliže držitel rozhodnutí o registraci původního léčivého přípravku pro vzácná onemocnění **není schopen dodávat dostatečné množství** léčivého přípravku:

Zpráva popisující, proč jsou dodávky registrovaného léčivého přípravku pro vzácná onemocnění považovány za nedostatečné, v souladu s čl. 8 odst. 3 písm. b) nařízení (ES) č. 141/2000.

Zpráva by měla obsahovat podrobné informace o problémech s dodáváním a vysvětlení toho, proč nejsou potřeby pacientů s indikací vzácného onemocnění uspokojeny. Všechna tvrzení by měla být podložena kvalitativními a kvantitativními údaji.

3.3.2.3 Čl. 8 odst. 3 písm. c)

Jestliže 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**:

Kritická zpráva zdůvodňující, proč je druhý přípravek považován za „klinicky nadřazený“ registrovanému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění, v souladu s čl. 8 odst. 3 písm. c) nařízení (ES) č. 141/2000.

Zpráva by měla obsahovat srovnání těchto dvou přípravků z hlediska „klinické nadřazenosti“, jak je definována v čl. 3 odst. 3 písm. d) nařízení (ES) č. 847/2000, s konkrétními odkazy na:

- výsledky klinických studií,
- odbornou literaturu.

3.4 Určení relevantních přípravků k provedení kontroly podobnosti

U každé žádosti o registraci by měl příslušný posuzující orgán zkontrolovat, které registrované léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je třeba při posouzení možné podobnosti zohlednit. Tato kontrola by měla být poprvé provedena **před validací** žádosti.

Pokud příslušný posuzující orgán zjistí skutečnost týkající se možné podobnosti, kterou žadatel před validací nevedl, žadatel bude vyzván k tomu, aby žádost doplnil o informace týkající se „podobnosti“ a popřípadě jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3. Validace žádosti bude pokračovat až poté, co žadatel předloží zprávu, která vyvrací podobnost, nebo informace zdůvodňující uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3 (viz výše kapitola 3.3 „Informace, které musí žadatel předložit“).

Jelikož mezi validací žádosti a přijetím stanoviska/udělením registrace může uplynout značná doba, příslušný posuzující orgán by měl zopakovat kontrolu ohledně existence možného podobného léčivého přípravku pro vzácná onemocnění ještě před udělením nebo změnou registrace: mezitím totiž mohly být registrovány nové léčivé přípravky pro vzácná onemocnění pro totéž onemocnění.

U **centralizovaného postupu** zopakuje agentura svou kontrolu ohledně existence možných podobných léčivých přípravků pro vzácná onemocnění předtím, než Výbor pro humánní léčivé přípravky vydá pozitivní stanovisko. Pokud jsou zjištěny další skutečnosti v souvislosti s možnou podobností, žadatel bude vyzván k tomu, aby předložil další příslušné dokumenty týkající se podobnosti (a v případě nutnosti dokumenty na podporu uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3). Průběh postupu bude zastaven do té doby, než budou tyto dokumenty předloženy.

Pokud bude v průběhu registračního postupu zjištěna nová skutečnost v souvislosti s možnou podobností na úrovni Evropské komise v době, kdy připravuje rozhodnutí o registraci, Komise může postoupit stanovisko Výboru pro humánní léčivé přípravky zpět agentuře k dalšímu posouzení.

3.5 Postup posouzení podobnosti a uplatnění výjimky na základě „klinické nadřazenosti“

Poté, co byly určeny relevantní přípravky k provedení kontroly podobnosti přípravku, příslušný posuzující orgán zahájí postup posouzení podobnosti a, pokud bude jeho stanovisko ohledně podobnosti pozitivní, zahájí postup pro posouzení toho, zda se uplatní některá z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3.

Příslušný posuzující orgán by měl posuzovat „podobnost“ a popřípadě splnění kritérií pro uplatnění výjimky na základě „klinické nadřazenosti“ souběžně s posuzováním jakosti/bezpečnosti/účinnosti daného léčivého přípravku.

Pokud příslušný posuzující orgán dospěje již v průběhu posuzování jakosti/bezpečnosti/účinnosti k závěru, že mezi posuzovaným přípravkem a registrovaným léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění existuje podobnost, žadatel bude již tehdy vyzván k tomu, aby předložil zdůvodnění pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3.

3.5.1 Centralizovaný postup

Stanovisko Výboru pro humánní léčivé přípravky týkající se „podobnosti“ a případně „klinické nadřazenosti“ bude součástí celkového hodnocení jakosti/bezpečnosti/účinnosti. Pokud bude posuzována klinická nadřazenost, doklady pro tuto klinickou nadřazenost budou popsány v Evropské veřejné zprávě o hodnocení.

Přezkum stanoviska Výboru pro humánní léčivé přípravky

Jakmile Výbor pro humánní léčivé přípravky uzavře své posouzení podobnosti, případně posouzení toho, zda jsou splněna kritéria pro uplatnění výjimky na základě „klinické nadřazenosti“, žadatel může požádat o přezkum stanoviska Výboru pro humánní léčivé přípravky podle zásad stanovených v čl. 9 odst. 2 nařízení (ES) č. 726/2004.

Vědecké doporučení nebo pomoc při přípravě protokolu o podobnosti a klinické nadřazenosti

Žadatelé, kteří chtějí vyvinout přípravek, u něhož by se mohla vyskytnout skutečnost související s podobností s léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění, mohou požádat Výbor pro humánní léčivé přípravky o vědecké doporučení nebo pomoc při přípravě protokolu. Ve své žádosti o doporučení bude muset žadatel popsat své hodnocení podobnosti a případně uvést zdůvodnění pro uplatnění jedné z uvedených výjimek.

Pokud má žadatel v úmyslu uplatnit výjimku na základě klinické nadřazenosti, může a měl by požádat o vědecké doporučení nebo pomoc při přípravě protokolu, pokud jde o vhodnost studie (studií), která (které) má (mají) prokázat klinickou nadřazenost.

3.5.2 Vnitrostátní postup, postup vzájemného uznávání a decentralizovaný postup

Důrazně se doporučuje, aby příslušný vnitrostátní posuzující orgán v rámci vnitrostátního postupu, postupu vzájemného uznávání nebo decentralizovaného postupu informoval agenturu ihned, jakmile zjistí skutečnost související s možnou podobností s registrovaným léčivým přípravkem pro vzácná onemocnění. Za účelem zajištění jednotného posuzování podobnosti a klinické nadřazenosti ve Společenství by bylo žádoucí, aby fungoval proces konzultací mezi agenturním Výborem pro humánní léčivé přípravky a vnitrostátním orgánem.

Ve všech případech by agentura měla být informována o závěrech vnitrostátního orgánu ohledně podobnosti, případně klinické nadřazenosti.

3.6 Postup uplatnění výjimky na základě „neschopnosti dodávat dostatečné množství“

Pokud jde o výjimku stanovenou v čl. 8 odst. 3 písm. c) nařízení (ES) č. 141/2000 (držitel rozhodnutí o registraci původního léčivého přípravku pro vzácná onemocnění není schopen dodávat dostatečné množství léčivého přípravku), žadatel o registraci pro druhý přípravek bude muset poskytnout příslušnému posuzujícímu orgánu zprávu se zdůvodněním této výjimky (viz výše kapitola 3.3 „Informace, které musí žadatel předložit“).

Příslušný posuzující orgán by měl tuto zprávu žadatele rozeslat (ostatním) členským státům k připomínkám. Příslušný posuzující orgán by měl rovněž navázat styk s držitelem registrace původního přípravku a vyzvat jej k tomu, aby se písemně vyjádřil. Příslušný posuzující orgán by měl vydat **stanovisko** ohledně splnění kritérií pro uplatnění výjimky, s přihlédnutím ke zprávě žadatele i k připomínkám zaslaným z členských států a od držitele registrace. Pokud je výjimka posuzována v rámci centralizovaného postupu, bude toto stanovisko tvořit součást stanoviska Výboru pro humánní léčivé přípravky.

3.7 Souběžné posouzení dvou žádostí pro totéž vzácné onemocnění

3.7.1 Centralizovaný postup

Pokud probíhají souběžně dva postupy pro udělení registrace potenciálně podobným léčivým přípravkům pro vzácná

onemocnění, jelikož agentuře byly doručeny žádosti ve stejnou dobu, pak jsou možné tyto scénáře:

Ve *velmi výjimečném případě*, kdy byly žádosti o registraci pro totéž vzácné onemocnění *doručeny ve stejnou dobu* a jsou posuzovány v souladu s příslušnými ustanoveními právních předpisů v oblasti léčivých přípravků, *zůstávají* registrační postupy *souběžné* a stanovisko ohledně podobnosti těchto dvou přípravků není nutné.

Pokud však u těchto současných žádostí o registraci tyto dva registrační postupy na základě přezkoumání každé žádosti jednotlivě *nezůstávají souběžné*, stanovisko ohledně podobnosti bude nutné: jakmile jeden z přípravků se statusem léčivého přípravku pro vzácná onemocnění získá registraci, žadatel o registraci pro druhý přípravek bude informován o tom, že byla udělena registrace potenciálně podobnému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění. Tento žadatel bude vyzván k tomu, aby předložil zprávu týkající se „podobnosti“ a případně zdůvodnění pro uplatnění jedné z výjimek stanovených v čl. 8 odst. 3.

3.7.2 Vnitrostátní postup, postup vzájemného uznávání a decentralizovaný postup

Pokud byl léčivý přípravek stanoven jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění a jeho registrace je předmětem posuzování, ale Evropská komise ji ještě neudělila, může dojít k souběžnému posuzování potenciálně podobného léčivého přípravku (jiného než je léčivý přípravek pro vzácná onemocnění⁽¹⁾) vnitrostátním orgánem. Jelikož registrovaný léčivý přípravek pro vzácná onemocnění ještě neexistuje, registrace může být udělena (bez stanoviska ohledně podobnosti).

⁽¹⁾ Viz kapitolu 3.1: s platností od 20. listopadu 2005 smějí být léčivé přípravky, které jsou stanoveny jako léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, registrovány pouze centralizovaným postupem.