

32000R0141

22.1.2000.

SLUŽBENI LIST EUROPSKIH ZAJEDNICA

L 18/1

UREDBA (EZ) br. 141/2000 EUROPSKOG PARLAMENTA I VIJEĆA
od 16. prosinca 1999.
o lijekovima za rijetke bolesti

EUROPSKI PARLAMENT I VIJEĆE EUROPSKE UNIJE,

uzimajući u obzir Ugovor o osnivanju Europske zajednice, a posebno njegov članak 95.,

uzimajući u obzir prijedlog Komisije ⁽¹⁾,

uzimajući u obzir mišljenje Gospodarskog i socijalnog odbora ⁽²⁾,

u skladu s postupkom utvrđenim u članku 251. Ugovora ⁽³⁾,

budući da:

- (1) Neka su zdravstvena stanja toliko rijetka da se trošak razvoja i stavljanja u promet dijagnostičkih proizvoda i gotova lijeka za njihovu prevenciju ili liječenje ne može nadoknaditi očekivanom prodajom lijeka; farmaceutska industrija nije spremna razviti ovakav lijek po uobičajenim tržišnim uvjetima; takvi se lijekovi nazivaju „lijekovi za rijetke bolesti”.
- (2) Bolesnici koji boluju od rijetkih bolesti trebaju imati pravo na jednaku kvalitetu liječenja kao i ostali bolesnici; stoga je potrebno potaknuti farmaceutsku industriju na istraživanje, razvoj i stavljanje u promet odgovarajućih lijekova; poticaji za razvoj lijekova za rijetke bolesti dostupni su u Sjedinjenim Američkim Državama od 1983., a u Japanu od 1993. godine.
- (3) Do sada su u Europskoj uniji poduzeta samo ograničena djelovanja, kako na nacionalnoj razini tako i na razini Zajednice, u svrhu poticanja razvoja lijekova za rijetke

bolesti; takva je djelovanja najbolje poduzimati na razini Zajednice kako bi se iskoristila prednost što većeg tržišta i izbjeglo rasipanje ograničenih sredstava; prednost imaju djelovanja na razini Zajednice u odnosu na neusklađene mjere država članica koje za posljedicu mogu imati narušavanje tržišnog natjecanja i prepreke trgovini unutar Zajednice.

- (4) Lijekove za rijetke bolesti koji dolaze u obzir za dobivanje poticaja trebalo bi odrediti jednostavno i jasno; čini se da je najbolji način da se to napravi ustanoviti otvoren i transparentan postupak Zajednice za uvrštenje određenih lijekova u skupinu lijekova za rijetke bolesti.
- (5) Trebalo bi ustanoviti objektivne kriterije za uvrštenje tih lijekova; ti bi se kriteriji trebali temeljiti na prevalenciji bolesti za koje su potrebne dijagnoza, prevencija ili liječenje; prevalencija od najviše pet oboljelih osoba na 10 tisuća općenito smatra se odgovarajućim pragom; lijekovi namijenjeni bolestima opasnim po život, bolestima koje uzrokuju invaliditet odnosno iscrpljujućim i kroničnim bolestima ulaze u izbor čak i kada je prevalencija veća od pet osoba na 10 tisuća.
- (6) Trebalo bi osnovati Odbor sastavljen od stručnjaka koje su imenovala države članice, a čija je svrha razmotriti zahtjeve za uvrštenje; ovaj bi Odbor također trebao uključiti troje predstavnika udruga bolesnika koje odredi Komisija i tri druge osobe koje je također odredila Komisija na preporuku Europske agencije za lijekove (dalje u tekstu: „Agencija”); Agencija bi trebala biti odgovorna za odgovarajuću koordinaciju Odbora za lijekove za rijetke bolesti i Odbora za lijekove zaštićene patentnim pravom.
- (7) Bolesnici s takvim zdravstvenim stanjima zaslužuju primati lijekove iste kakvoće, neškodljivosti i djelotvornosti kao i ostali bolesnici; lijekovi za rijetke bolesti stoga bi trebali biti podvrgnuti uobičajenom postupku procjene; sponzori lijekova za rijetke bolesti trebali bi imati mogućnost dobivanja odobrenja Zajednice; da bi se olakšalo dobivanje ili produljenje odobrenja Zajednice, trebalo bi se odreći makar dijela naknada koje se plaćaju Agenciji; time uzrokovan gubitak prihoda Agenciji trebalo bi nadoknaditi iz proračuna Zajednice.

⁽¹⁾ SL C 276, 4.9.1998., str. 7.

⁽²⁾ SL C 101, 12.4.1999., str. 37.

⁽³⁾ Mišljenje Europskog parlamenta od 9. ožujka 1999. (SL C 175, 21.6.1999., str. 61.), Zajedničko stajalište Vijeća od 27. rujna 1999. (SL C 317, 4.11.1999., str. 34.) i Odluka Europskog parlamenta od 15. prosinca 1999. (još nije objavljena u Službenom listu).

- (8) Iskustvo Sjedinjenih Američkih Država i Japana pokazuje da je najjači poticaj za industriju da ulaže u razvoj i stavljanje u promet lijekova za rijetke bolesti tamo gdje postoje izgledi za dobivanje isključivog prava stavljanja u promet na određen broj godina tijekom kojih se može povratiti dio ulaganja; zaštita podataka prema članku 4. stavku 8. točki (a) iii. Direktive Vijeća 65/65/EEZ od 26. siječnja 1965. o usklađivanju odredbi predviđenih zakonom, uredbom ili upravnim djelovanjem u vezi s lijekovima⁽¹⁾ nije dostatan poticaj u tu svrhu; države članice neovisnim djelovanjem ne mogu uvesti takvu mjeru bez dimenzije Zajednice jer bi takva odredba bila suprotna Direktivi 65/65/EEZ; kad bi države članice usvojile takve mjere na neusklađeni način, to bi stvorilo prepreke trgovini unutar Zajednice, što bi dovelo do poremećaja tržišnog natjecanja i tokova suprotnih jedinstvenom tržištu; međutim, isključivo pravo stavljanja u promet treba biti ograničeno na terapijske indikacije za koje je lijek za rijetke bolesti odobren, ne dovodeći u pitanje postojeća prava intelektualnog vlasništva; u interesu bolesnika, isključivo pravo stavljanja u promet dodijeljeno za lijek za rijetke bolesti ne smije spriječiti stavljanje u promet sličnog lijeka koji bi mogao biti od značajne dobrobiti za oboljele.
- (9) Sponzori lijekova koji su prema ovoj Uredbi određeni kao lijekovi za rijetke bolesti trebali bi imati pravo na punu korist od svih poticajnih mjera Zajednice ili država članica kojima se podupire istraživanje i razvoj medicinskih pripravaka za dijagnozu, prevenciju ili liječenje takvih oboljenja, uključujući i rijetke bolesti.
- (10) Poseban program Biomed 2 četvrtog okvirnog programa za istraživanje i tehnološki razvoj, (1994. do 1998.), podupro je istraživanje liječenja rijetkih bolesti, uključujući metode za izradu planova brzog razvoja lijekova za rijetke bolesti i inventara lijekova za rijetke bolesti raspoloživih u Europi; ta su novčana sredstva bila namijenjena poticanju međudržavne suradnje u temeljnim i kliničkim istraživanjima rijetkih bolesti; istraživanje rijetkih bolesti i dalje je prioritet Zajednice budući da je obuhvaćeno petim okvirnim programom za istraživanje i tehnološki razvoj, (od 1998. do 2002. godine); ovom Uredbom uspostavlja se pravni okvir koji će omogućiti brzu i učinkovitu primjenu rezultata ovog istraživanja.
- (11) Rijetke bolesti utvrđene su kao domena prioritarnog djelovanja Zajednice u području javnog zdravlja; Komisija je u svojoj komunikaciji o programu djelovanja Zajednice u vezi s rijetkim bolestima u području javnog zdravlja odlučila rijetkim bolestima u okviru javnog zdravlja dati prednost; Europski parlament i Vijeće donijeli su Odluku br. 1295/1999/EZ od 29. travnja 1999. o usvajanju programa djelovanja Zajednice u vezi s rijetkim bolestima

u okviru javnog zdravlja, (od 1999. do 2003. godine)⁽²⁾, uključujući pružanje informacija, radi rješavanja skupina rijetkih bolesti u populaciji i pružanja podrške odgovarajućim bolesničkim udrugama; ovom se Uredbom provodi jedan od prioriteta utvrđenih u ovom programu djelovanja,

DONIJELI SU OVU UREDBU:

Članak 1.

Svrha

Svrha je ove Uredbe utvrditi postupak Zajednice za uvrštenje određenih lijekova u skupinu lijekova za rijetke bolesti te potaknuti istraživanje, razvoj i stavljanje u promet lijekova uvrštenih u skupinu lijekova za rijetke bolesti.

Članak 2.

Definicije

Za potrebe ove Uredbe:

- (a) „lijek” znači lijek za ljudsku uporabu kako je definirano u članku 2. Direktive 65/65/EEZ;
- (b) „lijek za rijetke bolesti” znači lijek koji je uvršten u tu skupinu u skladu s uvjetima ove Uredbe;
- (c) „sponzor” znači bilo koja pravna ili fizička osoba s poslovnim nastanom u Zajednici, koja traži ili joj je već odobreno uvrštenje lijeka u skupinu lijekova za rijetke bolesti;
- (d) „Agencija” znači Europska agencija za lijekove.

Članak 3.

Kriteriji za uvrštenje

1. Lijek se uvrštava u skupinu lijekova za rijetke bolesti ako njegov sponzor može dokazati sljedeće:

- (a) da je namijenjen za dijagnozu, prevenciju ili liječenje po život opasne bolesti, odnosno, iscrpljujuće kronične bolesti koja zahvaća najviše pet od 10 tisuća osoba u Zajednici u trenutku podnošenja zahtjeva za uvrštenje; ili

da je namijenjen za dijagnozu, prevenciju ili liječenje po život opasne bolesti, ozbiljne iscrpljujuće ili ozbiljne kronične bolesti u Zajednici te da bez poticaja nije vjerojatno da bi stavljanje u promet ovog lijeka u Zajednici donijelo dovoljan povrat da se opravda potrebno ulaganje;

⁽¹⁾ SL 22, 9.2.1965., str. 369. Direktiva kako je zadnje izmijenjena Direktivom 93/39/EEZ (SL L 214, 24.8.1993., str. 22.).

⁽²⁾ SL L 155, 22.6.1999., str. 1.

i

(b) da ne postoji zadovoljavajuća metoda za dijagnozu, prevenciju ili liječenje navedene bolesti koju je odobrila Zajednica ili, ako takva metoda postoji, da će lijek biti od značajne dobrobiti za one koji su pogođeni takvim stanjem.

2. Komisija donosi odredbe potrebne za provedbu ovog članka u obliku provedbene uredbe u skladu s postupkom utvrđenim u članku 72. Uredbe Vijeća (EEZ) br. 2309/93 ⁽¹⁾.

Članak 4.

Odbor za lijekove za rijetke bolesti

1. Ovim se u okviru Agencije osniva Odbor za lijekove za rijetke bolesti, dalje u tekstu: „Odbor“.

2. Zadatak Odbora je:

(a) razmotriti sve zahtjeve za uvrštenje lijeka u skupinu lijekova za rijetke bolesti, a koji su mu dostavljeni u skladu s ovom Uredbom;

(b) savjetovati Komisiju o utvrđivanju i razvoju politike lijekova za rijetke bolesti za Europsku uniju;

(c) pomoći Komisiji u međunarodnom povezivanju vezanom uz pitanja koja se odnose na lijekove za rijetke bolesti i u povezivanju s udrugama za podršku bolesnicima;

(d) pomoći Komisiji pri sastavljanju detaljnih smjernica.

3. Odbor se sastoji od po jednog člana kojeg je predložila svaka država članica, tri člana koje je predložila Komisija kao predstavnike udruga bolesnika i tri člana koje je imenovala Komisija na temelju preporuke Agencije. Članovi Odbora imenuju se na rok od tri godine koji se može produljiti. Njima se mogu pridružiti i stručnjaci.

4. Odbor bira svojeg Predsjednika na rok od tri godine, koji se može jednom produljiti.

5. Predstavnici Komisije i izvršni direktor Agencije ili njegov predstavnik mogu prisustvovati svim sastancima Odbora.

6. Agencija se obvezuje uspostaviti tajništvo Odbora.

7. Od članova Odbora zahtijeva se da ne otkriju ni jednu informaciju koja je obuhvaćena obvezom čuvanja profesionalne tajne, čak i nakon prestanka njihove dužnosti.

Članak 5.

Postupak za uvrštenje i uklanjanje iz registra

1. Da bi određen lijek bio uvršten u skupinu lijekova za rijetke bolesti, njegov sponzor mora, bez obzira na stupanj

razvoja lijeka, dostaviti zahtjev Agenciji prije nego što preda zahtjev za odobrenje za stavljanje gotovog lijeka u promet.

2. Zahtjevu se prilažu sljedeći podaci i dokumenti:

(a) ime ili naziv i stalna adresa sponzora;

(b) aktivni sastojci lijeka;

(c) predložena terapijska indikacija;

(d) potvrda da su kriteriji utvrđeni člankom 3. stavkom 1. zadovoljeni te opis stupnja razvoja, uključujući očekivane indikacije.

3. Nakon savjetovanja s državama članicama, Agencijom i zainteresiranim stranama, Komisija sastavlja detaljne smjernice vezane uz oblik i sadržaj zahtjeva za uvrštenje.

4. Agencija provjerava valjanost zahtjeva i priprema sažeto izvješće Odboru. Prema potrebi može od sponzora zahtijevati da nadopuni podatke i dokumente priložene uz zahtjev.

5. Agencija osigurava da Odbor donese svoje mišljenje u roku od 90 dana od primitka valjanog zahtjeva.

6. Prilikom pripreme mišljenja, Odbor poduzima sve što je u njegovoj moći da postigne konsenzus. Ako se takav konsenzus ne može postići, mišljenje se usvaja dvotrećinskom većinom članova Odbora. Mišljenje se može dobiti pisanim postupkom.

7. U slučaju da prema mišljenju Odbora zahtjev ne zadovoljava kriterije navedene u članku 3. stavku 1., Agencija o tome obavješćuje sponzora. U roku od 90 dana od primitka mišljenja, sponzor može izjaviti žalbu s detaljnim obrazloženjem razloga za žalbu, koju Agencija prosljeđuje Odboru. Odbor na sljedećem sastanku razmatra treba li promijeniti svoje mišljenje.

8. Agencija odmah šalje konačno mišljenje Odbora Komisiji, koja donosi odluku u roku od 30 dana od primitka mišljenja. Kad u iznimnim okolnostima nacrt odluke nije u skladu s mišljenjem Odbora, odluka se donosi u skladu s postupkom utvrđenim u članku 73. Uredbe (EEZ) br. 2309/93. Odluka se pripućuje sponzoru i o njoj se obavješćuju Agencija i nadležna tijela država članica.

9. Uvršten lijek unosi se u Registar lijekova za rijetke bolesti Zajednice.

10. Sponzor svake godine Agenciji dostavlja izvješće o razvoju uvrštenog lijeka.

11. Da bi se uvrštenje lijeka za rijetke bolesti prenijelo na drugog sponzora, nositelj uvrštenja mora Agenciji podnijeti poseban zahtjev. U dogovoru s državama članicama, Agencijom i zainteresiranim stranama, Komisija sastavlja detaljne smjernice vezane za oblik u kojem se podnosi zahtjev za prijenos, njegov sadržaj i sve podatke o novom sponzoru.

⁽¹⁾ SL L 214, 24.8.1993., str. 1. Uredba kako je izmijenjena Uredbom Komisije (EZ) br. 649/98 (SL L 88, 24.3.1998., str. 7.).

12. Uvršten lijek za rijetke bolesti uklanja se iz Registra lijekova za rijetke bolesti Zajednice:

- (a) na zahtjev sponzora;
- (b) ako se prije dobivanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet utvrdi da lijek više ne zadovoljava kriterije utvrđene u članku 3.;
- (c) po isteku isključivog prava stavljanja u promet kako je utvrđeno u članku 8.

Članak 6.

Protokolarna pomoć

1. Sponzor lijeka za rijetke bolesti može prije podnošenja zahtjeva za odobrenje za stavljanje lijeka u promet tražiti savjet od Agencije o provođenju različitih pretraga i ispitivanja kojima se dokazuje kakvoća, neškodljivost i djelotvornost lijeka, u skladu s člankom 51. točkom (j) Uredbe (EEZ) br. 2309/93.

2. Agencija utvrđuje postupak za razvoj lijekova za rijetke bolesti, kojim se uređuje pomoć regulatornih tijela u određivanju sadržaja zahtjeva za odobrenje u smislu članka 6. Uredbe (EEZ) br. 2309/93.

Članak 7.

Odobrenje Zajednice za stavljanje u promet

1. Osoba odgovorna za stavljanje lijeka za rijetke bolesti u promet može zahtijevati od Zajednice da odobri stavljanje lijeka u promet, u skladu s odredbama Uredbe (EEZ) br. 2309/93, a da pritom ne mora dokazati da lijek zadovoljava zahtjeve prema dijelu B Priloga toj Uredbi.

2. Agenciji se svake godine dodjeljuju posebna sredstva Zajednice, različita od onih koje propisuje članak 57. Uredbe (EEZ) br. 2309/93. Ta sredstva Agencija koristi isključivo za ukidanje, djelomično ili u cijelosti, svih pristojbi plativih prema pravilima Zajednice usvojenim na temelju Uredbe (EEZ) br. 2309/93. Detaljno izvješće o korištenju tih posebnih sredstava podnosi izvršni direktor Agencije krajem svake godine. Eventualan višak u određenoj godini prenosi se i oduzima od sredstava namijenjenih za sljedeću godinu.

3. Odobrenje za stavljanje u promet lijeka za rijetke bolesti obuhvaća samo one terapijske indikacije koje zadovoljavaju kriterije navedene u članku 3. Ovo ne dovodi u pitanje mogućnost zasebnog podnošenja zahtjeva za odobrenje za stavljanje lijeka u promet za druge indikacije izvan područja primjene ove Uredbe.

Članak 8.

Isključivo pravo stavljanja u promet

1. Kad se stavljanje u promet lijeka za rijetke bolesti odobri u skladu s Uredbom (EEZ) br. 2309/93 ili kad su sve države članice odobrile stavljanje lijeka u promet u skladu s postupcima za uzajamno priznavanje utvrđenim u člancima 7. i 7. a Direktive 65/65/EEZ ili članku 9. stavku 4. Direktive Vijeća 75/319/EEZ od 20. svibnja 1975. o usklađivanju odredaba utvrđenih zakonom i drugim propisima koji se odnose na lijekove⁽¹⁾ te ne dovodeći u pitanje pravo intelektualnog vlasništva ili bilo koju drugu odredbu prava Zajednice, Zajednica i države članice ne smiju u razdoblju od 10 godina za sličan lijek prihvatiti ni jedan drugi zahtjev za odobrenje za stavljanje u promet niti odobriti zahtjev za stavljanje u promet, odnosno, prihvatiti zahtjev za produljenje postojećeg odobrenja za stavljanje lijeka u promet za istu terapijsku indikaciju.

2. Ovo se razdoblje, međutim, može smanjiti na šest godina ako se na kraju pete godine utvrdi da odobren lijek ne zadovoljava kriterije utvrđene u članku 3., među ostalim, kad postoje dokazi da je proizvod toliko profitabilan da daljnje isključivo pravo stavljanja u promet nije opravdano. U tu svrhu, država članica obavješćuje Agenciju da nije zadovoljen kriterij na temelju kojeg je isključivo pravo stavljanja u promet dodijeljeno, a Agencija zatim pokreće postupak utvrđen u članku 5. Sponzor je obvezan Agenciji dostaviti sve informacije potrebne u tu svrhu.

3. Odstupajući od stavka 1. i ne dovodeći u pitanje pravo intelektualnog vlasništva ili bilo koju drugu odredbu prava Zajednice, odobrenje za stavljanje u promet može se dodijeliti sličnom lijeku za istu terapijsku indikaciju, ako:

- (a) je nositelj odobrenja za stavljanje u promet originalnog lijeka za rijetke bolesti suglasan sa zahtjevom drugog podnositelja; ili
- (b) nositelj odobrenja za stavljanje u promet originalnog lijeka za rijetke bolesti nije u stanju isporučiti dovoljne količine lijeka; ili
- (c) je drugi podnositelj zahtjeva u stanju u zahtjevu dokazati da je drugi lijek, iako sličan odobrenom lijeku za rijetke bolesti, sigurniji za primjenu, djelotvorniji ili na drugi način klinički superiorniji.

4. Komisija usvaja definicije „sličnog lijeka” i „kliničke superiornosti” u obliku provedbene Uredbe, u skladu s postupkom utvrđenim u članku 72. Uredbe (EEZ) br. 2309/93.

5. Komisija sastavlja detaljne smjernice za primjenu ovog članka u dogovoru s državama članicama, Agencijom i zainteresiranim stranama.

⁽¹⁾ SL L 147, 9.6.1975., str. 13. Direktiva kako je zadnje izmijenjena Direktivom Vijeća 93/39/EEZ (SL L 214, 24.8.1993., str. 22.).

Članak 9.**Ostali poticaji**

1. Lijekovi uvršteni u skupinu lijekova za rijetke bolesti prema odredbama ove Uredbe zadovoljavaju uvjete za dobivanje poticaja Zajednice i država članica za potporu istraživanju, razvoju i raspoloživosti lijekova za rijetke bolesti, a osobito za pomoć u istraživanju malim i srednjim i poduzećima propisanu okvirnim programima za istraživanje i tehnološki razvoj.

2. Do 22. srpnja 2000. države članice obvezne su dostaviti Komisiji detaljne podatke o svim mjerama koje su pokrenule za potporu istraživanju, razvoju i raspoloživosti lijekova za rijetke bolesti, odnosno, lijekova koji mogu biti uvršteni u tu skupinu. Ovi se podaci redovito ažuriraju.

3. Do 22. siječnja 2001. Komisija objavljuje detaljan popis svih poticaja koje Zajednica i države članice stavljaju na

raspolaganje u svrhu podrške istraživanju, razvoju i raspoloživosti lijekova za rijetke bolesti. Taj se popis redovito ažurira.

Članak 10.**Opće izvješće**

Do 22. siječnja 2006. Komisija objavljuje opće izvješće o iskustvu stečenom u primjeni ove Uredbe te opisuje ostvarenu dobit za javno zdravlje.

Članak 11.**Stupanje na snagu**

Ova Uredba stupa na snagu na dan objave u *Službenom listu Europskih zajednica*.

Primjenjuje se od datuma donošenja provedbenih Uredaba predviđenih u članku 3. stavku 2. i članku 8. stavku 4.

Ova je Uredba u cijelosti obvezujuća i izravno se primjenjuje u svim državama članicama.

Sastavljeno u Bruxellesu 16. prosinca 1999.

Za Europski parlament
Predsjednica
N. FONTAINE

Za Vijeće
Predsjednik
K. HEMILÄ