Ez a dokumentum kizárólag tájékoztató jellegű és nem vált ki joghatást. Az EU intézményei semmiféle felelősséget nem vállalnak a tartalmáért. A jogi aktusoknak – ideértve azok bevezető hivatkozásait és preambulumbekezdéseit is – az Európai Unió Hivatalos Lapjában közzétett és az EUR-Lex portálon megtalálható változatai tekintendők hitelesnek. Az említett hivatalos szövegváltozatok közvetlenül elérhetők az ebben a dokumentumban elhelyezett linkeken keresztül

►B AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS 141/2000/EK RENDELETE

(1999. december 16.)

a ritka betegségek gyógyszereiről

(HL L 18., 2000.1.22., 1. o.)

Módosította:

		Hivatalos Lap		
		Szám	Oldal	Dátum
►**M1**	Az Európai Parlament és a Tanács 596/2009/EK rendelete (2009. június 18.)	L 188	14	2009.7.18.
►**M2**	Az Európai Parlament és a Tanács (EU) 2019/1243 rendelete (2019. június 20.)	L 198	241	2019.7.25.

▼B

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS 141/2000/EK RENDELETE

(1999. december 16.)

a ritka betegségek gyógyszereiről

1. cikk

Cél

E rendelet célja, hogy meghatározzon egy közösségi eljárást a gyógyszerek ritka betegségek gyógyszereiként való minősítésére, és ösztönzőket biztosítson a ritka betegségek gyógyszereiként minősített gyógyszerek kutatásához, fejlesztéséhez és forgalomba hozatalához.

2. cikk

Fogalommeghatározás

E rendelet alkalmazásában:

a) „gyógyszer”: emberi felhasználásra szánt gyógyszer a 65/65/EGK rendelet 2. cikkének meghatározása szerint;

b) „ritka betegségek gyógyszerei”: az e rendelet előírásai szerint így minősített gyógyszer;

c) „szponzor”: a Közösségben letelepedett természetes, vagy ott székhellyel rendelkező jogi személy, aki/amely egy gyógyszer ritka betegségek gyógyszereként való minősítését kezdeményezi, vagy már megszerezte ezt a minősítést;

d) „ügynökség”: az Európai Gyógyszerértékelő Ügynökség.

3. cikk

A minősítés kritériumai

(1) Egy adott gyógyszer akkor válik ritka betegségek gyógyszerévé, ha a szponzor bizonyítani tudja a következőket:

a) a termék olyan életveszélyes, vagy súlyosan egészségkárosító betegség diagnosztizálására, megelőzésére vagy kezelésére szolgál, amely tízezerből legfeljebb öt embert érint a Közösségben a kérelem benyújtásakor, vagy

   a termék az életveszélyes, súlyos egészségkárosító hatású vagy súlyos és krónikus betegségek diagnosztizálására, megelőzésére vagy kezelésére szolgál a Közösségben, és ösztönzők nélkül nem valószínű, hogy a gyógyszer közösségi forgalmazása elegendő bevételt hozna, hogy indokolja a szükséges beruházásokat;

   és

b) nem létezik a Közösségben hivatalosan engedélyezett, megfelelő módszer a kérdéses betegség diagnosztizálására, megelőzésére és kezelésére, vagy, ha ilyen módszer létezik is, akkor a gyógyszer jelentős kedvező hatást gyakorol majd a betegségben szenvedőkre.

▼M1

(2) A Bizottság az e cikk (1) bekezdésének végrehajtásához szükséges rendelkezéseket végrehajtási rendelet formájában, a 10a. cikk (2) bekezdésében meghatározott szabályozási bizottsági eljárással összhangban fogadja el.

▼B

4. cikk

Ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság

(1) Létre kell hozni az ügynökségen belül a ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottságot (a továbbiakban: bizottság).

(2) A bizottság feladata a következő:

a) megvizsgálni minden olyan kérelmet, amely az egyes gyógyszerek ritka betegségek gyógyszereként való minősítésére vonatkozik, amelyet e rendeletnek megfelelően nyújtottak be;

b) tanácsot adni a Bizottságnak az Európai Unió ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó politikájának kialakításához és fejlesztéséhez;

c) segíteni a Bizottságot a nemzetközi kapcsolattartásban a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos ügyekben, és a betegeket támogató csoportokkal való kapcsolattartásban;

d) segíteni a Bizottságot a részletes iránymutatások összeállításában.

(3) A bizottság az egyes tagállamok által kijelölt egy-egy tagból, a Bizottság által a betegképviseleti szervezetek képviseletére kijelölt három tagból, valamint a Bizottság által az az ügynökség javaslata alapján kijelölt három tagból áll. A bizottság tagjait hároméves időszakokra kell kinevezni, kinevezésük megújítható. Társulhatnak hozzájuk szakértők.

(4) A bizottság hároméves időszakokra választja az elnökét, az elnök egyszer újraválasztható.

(5) A Bizottság képviselői és az ügynökség ügyvezető igazgatója vagy az ő képviselője részt vehet a bizottság minden ülésén.

(6) Az ügynökség ellátja a bizottság titkárságának feladatait.

(7) A bizottság tagjai megbízatásuk lejártát követően sem fedhetnek fel hivatali titoknak minősülő információkat.

5. cikk

A minősítés folyamata és a nyilvántartásból való törlés

(1) A gyógyszerre vonatkozóan a ritka betegségek gyógyszere minősítés megszerzése érdekében a gyógyszer fejlesztésének bármely szakaszában, a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem benyújtását megelőzően, a szponzornak kérelmet kell benyújtania az ügynökséghez,

(2) A kérelemhez csatolni kell a következő adatokat és dokumentumokat:

a) a szponzor neve vagy cégneve és állandó lakcíme/székhelye;

b) a gyógyszer hatóanyagai;

c) a javasolt terápiás alkalmazási terület;

d) a 3. cikk (1) bekezdésében meghatározott kritériumoknak való megfelelés igazolása és a fejlesztés állapotának leírása, beleértve a várható alkalmazási területeket.

▼B

(3) A Bizottság a tagállamokkal, az ügynökséggel és az érdekelt felekkel folytatott konzultációt követően részletes iránymutatást dolgoz ki a minősítési kérelem előírt formájára és tartalmára vonatkozóan.

(4) Az ügynökség ellenőrzi a kérelem érvényességét, és összefoglaló jelentést készít a bizottságnak. Szükség esetén kérheti a szponzort a kérelemhez mellékelt adatok és dokumentumok kiegészítésére.

(5) Az ügynökség biztosítja, hogy az érvényes kérelem átvételét követő 90 napon belül a bizottság véleményt nyilvánít.

(6) A véleménye elkészítése során a bizottság konszenzusra törekszik. Ha nem születik ilyen konszenzus, a bizottság a véleményt tagjainak kétharmados többségével fogadja el. Vélemény írásbeli eljárással is nyilvánítható.

(7) Ha a bizottság véleménye szerint a kérelem nem felel meg a 3. cikk (1) bekezdésében meghatározott kritériumoknak, az ügynökség haladéktalanul értesíti a szponzort. A vélemény kézhezvételétől számított 90 napon belül a szponzor részletes indoklással benyújthatja a fellebbezését, amelyet az ügynökség továbbít a bizottságnak. A bizottság megfontolja, hogy felül kell-e vizsgálnia a véleményét a következő ülésen.

▼M1

(8) Az ügynökség haladéktalanul továbbítja a bizottság végső véleményét a Bizottságnak, amely a vélemény kézhezvételétől számított 30 napon belül határozatot fogad el. Amennyiben a határozattervezet kivételesen nincs összhangban a bizottság véleményével, a határozatot a 10a. cikk (2) bekezdésében említett szabályozási bizottsági eljárással összhangban fogadják el. A szponzort, az ügynökséget és a tagállamok illetékes hatóságait értesítik a határozatról.

▼B

(9) A minősített gyógyszert felveszik a ritka betegségek gyógyszereinek közösségi nyilvántartásába.

(10) A szponzor minden évben benyújtja az ügynökségnek a minősített gyógyszer fejlesztési állapotáról szóló jelentést.

(11) A ritka betegségek gyógyszere minősítés más szponzorra való átruházása esetén a minősítés birtokosának egyedi kérelmet kell benyújtania az ügynökséghez. A tagállamokkal, az ügynökséggel és az érintett felekkel folytatott konzultációt követően a Bizottság kidolgozza az átruházási kérelem formájára és tartalmára, valamint az új szponzor adataira vonatkozó részletes útmutatásokat.

▼B

(12) A minősített ritka betegségek gyógyszerét a következő esetekben törlik a ritka betegségek gyógyszereinek közösségi nyilvántartásából:

a) a szponzor kérésére;

b) ha a forgalomba hozatali engedélyt megelőzően megállapították, hogy az érintett gyógyszer esetében a 3. cikkben meghatározott kritériumok már nem teljesülnek;

c) a 8. cikkben meghatározottak szerint a piaci kizárólagosság időszakának lejártával.

6. cikk

Segítségnyújtás a jegyzőkönyvek kidolgozásához

(1) A ritka betegségek gyógyszereinek szponzora a forgalomba hozatali engedély iránti kérelmének benyújtása előtt kérheti az ügynökség tanácsát a 2309/93/EGK rendelet 51. cikkének j) pontja szerint a gyógyszer minősége, biztonságossága és hatásossága bemutatásához szükséges különféle tesztek és kísérletek végrehajtására vonatkozóan.

(2) Az ügynökség összeállít egy eljárást a ritka betegségek gyógyszereinek fejlesztésére vonatkozóan, amely a 2309/93/EGK rendelet 6. cikkének értelmében kiterjed az engedélykérelem tartalmának meghatározásával kapcsolatos szabályozási segítségnyújtásra.

7. cikk

Közösségi forgalomba hozatali engedély

(1) A ritka betegségek gyógyszerei forgalomba hozataláért felelős személy kérheti, hogy a gyógyszer forgalomba hozatalát a Közösség a 2309/93/EGK rendelet rendelkezéseinek megfelelően engedélyezze, anélkül, hogy a felelős személynek igazolnia kellene, hogy a gyógyszer a rendelet mellékletének B. részének megfelel.

(2) A Közösség minden évben külön hozzájárulást nyújt az ügynökségnek, amely nem azonos a 2309/93/EGK rendelet 57. cikkében meghatározottal, mely hozzájárulást az ügynökség kizárólag arra használhatja, hogy részben vagy teljes egészben elengedje a 2309/93/EGK rendelet szerint elfogadott közösségi szabályok értelmében fizetendő díjakat. Az ügynökség ügyvezető igazgatója minden év végén részletes jelentést készít e különös hozzájárulás felhasználásáról. Az adott évben előforduló minden többletet továbbgörgetik, és levonják a következő év különös hozzájárulásából.

(3) A ritka betegségek gyógyszereinek forgalomba hozatali engedélye csak olyan terápiás javallattal adható ki, amely megfelel a 3. cikkben meghatározott kritériumoknak. Ez nem sérti annak lehetőségét, hogy az e rendelet hatályán kívül eső más felhasználási területekre külön forgalomba hozatali engedélyt lehessen kérelmezni.

▼B

8. cikk

Piaci kizárólagosság

(1) Ha a 2309/93/EGK rendelet szerint kiadják a ritka betegségek gyógyszereinek forgalomba hozatali engedélyét, vagy haminden tagállam kiadja a forgalomba hozatali engedélyt a 65/65/EGK irányelv 7. és 7a. cikkében meghatározott kölcsönös elismerési eljárásoknak megfelelően, vagy a törzskönyvezett gyógyszerekre vonatkozó törvényi, rendeleti és közigazgatási intézkedésekben megállapított rendelkezések közelítéséről szóló 75/319/EGK tanácsi irányelv [1] 9. cikkének (4) bekezdése szerint, a szellemi tulajdonjog vagy a közösségi törvények más rendelkezéseinek sérelme nélkül, a Közösség és a tagállamok egy tízéves időszak alatt nem fogadhatnak el más forgalomba hozatali engedély iránti kérelmet, illetve nem adhatnak ki forgalomba hozatali engedélyt, vagy nem fogadhatnak el meglévő forgalomba hozatali engedélyt kiterjesztésére vonatkozó kérelmet ugyanarra a terápiás felhasználási területre, egy hasonló gyógyszer tekintetében.

(2) Ez az időszak azonban hat évre csökkenthető, ha az ötödik év végén a kérdéses gyógyszer tekintetében bizonyítható, hogy már nem felel meg a 3. cikkben meghatározott kritériumoknak, többek között, ha a rendelkezésre álló bizonyítékok alapján kiderül, hogy a termék túl nyereséges ahhoz, hogy a piaci kizárólagosság további fenntartása indokolt lehetne. E célból az egyik tagállam tájékoztatja az ügynökséget, hogy a kritérium, amely alapján a piaci kizárólagosságot odaítélték, lehet, hogy már nem teljesül, majd ezt követően az ügynökség kezdeményezi az 5. cikkben meghatározott eljárást. A szponzor minden e célra szükséges információt továbbít az ügynökségnek.

(3) Az (1) bekezdéstől eltérve, és a szellemi tulajdonjog vagy a közösségi törvények más rendelkezéseinek sérelme nélkül a forgalomba hozatali engedélyt abban az esetben lehet kiadni ugyanarra a gyógyászati felhasználási területre hasonló gyógyszer esetében, ha:

a) az eredeti ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó forgalomba hozatali engedély birtokosa beleegyezését adta a második kérelmezőnek, vagy

b) az eredeti ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó forgalomba hozatali engedély birtokosa nem tud a gyógyszerből elegendő mennyiséget szállítani, vagy

c) a második kérelmező igazolja a kérelemben, hogy a második gyógyszer bár hasonló a már engedélyezett ritka betegségek gyógyszereihez, mégis biztonságosabb, hatékonyabb vagy klinikailag kedvezőbb hatású.

▼M2

(4) A Bizottság felhatalmazást kap arra, hogy a 10b. cikknek megfelelően e rendeletet kiegészítő, felhatalmazáson alapuló jogi aktusokat fogadjon el abból a célból, hogy megállapítsa a „hasonló gyógyszer” és a „klinikailag nagyobb hatásosság” kifejezések fogalommeghatározását.

▼B

(5) A Bizottság kidolgozza az e cikk alkalmazására vonatkozó részletes útmutatásokat a tagállamokkal, az ügynökséggel és az érdekelt felekkel folytatott konzultációt követően.

---

[1] HL L 147., 1975.6.9., 13. o. A legutóbb a 96/39/EGK tanácsi irányelvvel (HL L 214., 1993.8.24., 22. o.) módosított irányelv.

▼B

9. cikk

Más ösztönzők

(1) E rendelet rendelkezései szerint a Közösség és a tagállamok ösztönzőkkel támogathatják a ritka betegségek gyógyszereiként minősített gyógyszereket, hogy ezzel elősegítsék a ritka betegségek gyógyszereinek kutatását, fejlesztését és forgalmazását, és különösen a kutatási és műszaki fejlesztési keretprogramban szereplő kis- és középvállalkozásoknak juttassanak támogatást.

(2) A tagállamok 2000. július 22-e előtt közlik a Bizottsággal a ritka betegségek gyógyszereinek vagy a ritka betegségek gyógyszereiként minősíthető gyógyszerek kutatásának, fejlesztésének és forgalomba hozatalának támogatására meghozott intézkedésekre vonatkozó részletes információkat. Ezeket az információkat rendszeresen frissítik.

(3) A Bizottság 2001. január 22-e előtt közzéteszi a Közösség és a tagállamok által a ritka betegségek gyógyszerei kutatásának, fejlesztésének és forgalomba hozatalának támogatására biztosított ösztönzők részletes jegyzékét. Ezt a jegyzéket rendszeresen frissítik.

10. cikk

Általános jelentés

A Bizottság 2006. január 22-e előtt közzéteszi az e rendelet alkalmazásának eredményeképpen szerzett tapasztalatokról szóló általános jelentést, együtt az elért közegészségügyi haszonról szóló beszámolóval.

▼M1

10a. cikk

(1) A Bizottságot az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek közösségi kódexéről szóló, 2001. november 6-i 2001/83/EK európai parlamenti és tanácsi irányelv ([1]) 121. cikkének (1) bekezdésében említett, az emberi felhasználásra szánt gyógyszertermékekkel foglalkozó állandó bizottság segíti.

(2) Az e bekezdésre történő hivatkozáskor az 1999/468/EK tanácsi határozat ([2]) 5. és 7. cikkét kell alkalmazni, 8. cikkének rendelkezéseire is figyelemmel.

Az 1999/468/EK határozat 5. cikkének (6) bekezdésében meghatározott határidő három hónap.

▼M2

10b. cikk

A felhatalmazás gyakorlása

(1) A felhatalmazáson alapuló jogi aktusok elfogadására vonatkozóan a Bizottság részére adott felhatalmazás feltételeit ez a cikk határozza meg.

(2) A Bizottságnak a 8. cikk (4) bekezdésében említett, felhatalmazáson alapuló jogi aktusok elfogadására vonatkozó felhatalmazása ötéves időtartamra szól 2019. július 26-tól kezdődő hatállyal. A

([1]) HL L 311., 2001.11.28., 67. o.
([2]) HL L 184., 1999.7.17., 23. o.

▼M2

Bizottság legkésőbb kilenc hónappal az ötéves időtartam letelte előtt jelentést készít a felhatalmazásról. A felhatalmazás hallgatólagosan meghosszabbodik a korábbival megegyező időtartamra, amennyiben az Európai Parlament vagy a Tanács nem ellenzi a meghosszabbítást legkésőbb három hónappal minden egyes időtartam letelte előtt.

(3) Az Európai Parlament vagy a Tanács bármikor visszavonhatja a 8. cikk (4) bekezdésében említett felhatalmazást. A visszavonásról szóló határozat megszünteti az abban meghatározott felhatalmazást. A határozat az *Európai Unió Hivatalos Lapjában* való kihirdetését követő napon, vagy a benne megjelölt későbbi időpontban lép hatályba. A határozat nem érinti a már hatályban lévő, felhatalmazáson alapuló jogi aktusok érvényességét.

(4) A felhatalmazáson alapuló jogi aktus elfogadása előtt a Bizottság a jogalkotás minőségének javításáról szóló, 2016. április 13-i intézményközi megállapodásban ([1]) foglalt elveknek megfelelően konzultál az egyes tagállamok által kijelölt szakértőkkel.

(5) A Bizottság a felhatalmazáson alapuló jogi aktus elfogadását követően haladéktalanul és egyidejűleg értesíti arról az Európai Parlamentet és a Tanácsot.

(6) A 8. cikk (4) bekezdése értelmében elfogadott, felhatalmazáson alapuló jogi aktus csak akkor lép hatályba, ha az Európai Parlamentnek és a Tanácsnak a jogi aktusról való értesítését követő két hónapon belül sem az Európai Parlament, sem a Tanács nem emelt ellene kifogást, illetve ha az említett időtartam lejártát megelőzően mind az Európai Parlament, mind a Tanács arról tájékoztatta a Bizottságot, hogy nem fog kifogást emelni. Az Európai Parlament vagy a Tanács kezdeményezésére ez az időtartam két hónappal meghosszabbodik.

▼B

11. cikk

Hatálybalépés

Ez a rendelet az *Európai Közösségek Hivatalos Lapjában* való kihirdetésének napján lép hatályba.

Ezt a rendeletet a 3. cikk (2) bekezdésében és a 8. cikk (4) bekezdésében előírt végrehajtási rendeletek elfogadási időpontjától kell alkalmazni.

Ez a rendelet teljes egészében kötelező és közvetlenül alkalmazandó valamennyi tagállamban.

([1]) HL L 123., 2016.5.12., 1. o.