

32000R0141

L 18/1

AZ EURÓPAI KÖZÖSSÉGEK HIVATALOS LAPJA

2000.1.22.

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS 141/2000/EK RENDELETE
(1999. december 16.)
a ritka betegségek gyógyszereiről

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS AZ EURÓPAI UNIÓ TANÁCSA,

tekintettel az Európai Közösséget létrehozó szerződésre, és különösen annak 95. cikkére,

tekintettel a Bizottság javaslatára ⁽¹⁾,

tekintettel a Gazdasági és Szociális Bizottság véleményére ⁽²⁾,

a Szerződés 251. cikkében megállapított eljárásnak megfelelően ⁽³⁾,

mivel:

- (1) néhány betegség olyan ritkán fordul elő, hogy a diagnosztizálására, megelőzésére, illetve kezelésére szolgáló gyógyszer kifejlesztésének és forgalomba hozatalának költsége nem térülne meg a gyógyszer várható forgalmazásából származó bevételből; a gyógyszeriparnak nem állna szándékában rendes piaci feltételek mellett kifejleszteni a gyógyszert; e gyógyszereket angol nyelvterületen „Orphan medicinal products”-nak nevezik (azaz a gyógyszerek közötti „árva gyermek”);
- (2) a ritka betegségekben szenvedő betegek ugyanolyan minőségű ellátásra jogosultak, mint a többi beteg; ezért arra kell ösztönözni a gyógyszeripart, hogy végezzen kutatást, fejlesztést és hozza forgalomba a megfelelő gyógyszereket; a ritka betegségek gyógyszereinek kifejlesztésére szolgáló ösztönzők az Amerikai Egyesült Államokban 1983 óta, Japánban pedig 1993 óta léteznek;
- (3) az Európai Unióban mind nemzeti, mind közösségi szinten eddig csak elszigetelt lépéseket tettek a ritka betegségek gyógyszereinek kifejlesztésének ösztönzésére; ezt a lépést legjobban közösségi szinten lehet megtenni, kihasználva a lehető legnagyobb piac előnyeit és elkerülve a korlátozott erőforrások szétaprózódását; a közösségi szintű fellépés

kedvezőbb, mint az összehangolatlan tagállami intézkedések, amelyek előidézhetik a verseny torzulását és a Közösségen belüli kereskedelem akadályozását;

- (4) az ösztönzésre alkalmas ritka betegségek gyógyszerei kiválasztásához világos és egyértelmű feltételek szükségesek; ezt a legjobban a potenciális gyógyszerek ritka betegségek gyógyszereiként való minősítésére szolgáló nyilvános és átlátható közösségi eljárás létrehozásával lehet megvalósítani;
- (5) a ritka betegségek gyógyszereiként való minősítéshez objektív kritériumokat kell megállapítani; e kritériumokat azon betegség előfordulási gyakoriságára kell alapozni, amelyre a diagnosztizálás, a megelőzés vagy a kezelés módját keresik; a megfelelőnek tekintett küszöbérték tízezer emberből legfeljebb öt megbetegedés; az életveszélyes, súlyos egészségkárosodást okozó, vagy súlyos és krónikus betegségek kezelésére szánt gyógyszereknek akkor is ösztönzésre jogosultnak kell lenniük, ha előfordulási gyakoriságuk nagyobb, mint öt fő tízezer emberből;
- (6) a tagállamok által kijelölt szakértőkből álló bizottságot kell létrehozni a minősítési kérelmek vizsgálatára; a bizottságnak tagja továbbá a betegszervezetek Bizottság által kijelölt három képviselője és három másik, szintén a Bizottság által kijelölt személy is, az Európai Gyógyszerértékelő Ügynökség (a továbbiakban: ügynökség) ajánlása alapján; az ügynökség legyen felelős a ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság és a törzskönyvezett gyógyszerkészítmények bizottsága közötti megfelelő koordinációért;
- (7) az ilyen betegségekben szenvedő betegek ugyanolyan minőségű, biztonságú és hatékonyságú gyógyszereket érdemelnek, mint más betegek; a ritka betegségek gyógyszereinek ezért a rendes értékelési folyamaton kell átmenniük; a ritka betegségek gyógyszereinek szponzorai számára ezért biztosítani kell a közösségi engedély megszerzésének lehetőségét; a közösségi engedély megadásának, illetve fenntartásának megkönnyítése érdekében az ügynökségnek fizetendő díjaknak legalább egy részét el kell engedni; a közösségi költségvetésből kell ellentételezni az ügynökség ilyen jellegű jövedelemkiesését;

⁽¹⁾ HL C 276., 1998.9.4., 7. o.

⁽²⁾ HL C 101., 1999.4.12., 37. o.

⁽³⁾ Az Európai Parlament 1999. március 9-i véleménye (HL C 175., 1999.6.21., 61. o.), a Tanács 1999. szeptember 27-i közös álláspontja (HL C 317., 1999.11.4., 34. o.) és az Európai Parlament 1999. december 15-i határozata (még nem tették közzé a Hivatalos Lapban).

- (8) az Amerikai Egyesült Államok és Japán tapasztalatai azt mutatják, hogy az ipar számára a legerősebb ösztönző erő a ritka betegségek gyógyszereinek fejlesztésébe és forgalmazásába történő befektetésre a többéves kizárólagos piaci helyzet megszerzésének lehetősége, amely alatt a befektetés egy része megtérülhet; a törzskönyvezett gyógyszerekre vonatkozó törvényi, rendeleti vagy közigazgatási intézkedésekben megállapított rendelkezések közelítéséről szóló, 1965. január 26-i 65/65/EGK tanácsi irányelv⁽¹⁾ 4. cikke (8) bekezdése a) pontjának iii. alpontja szerinti adatvédelem nem megfelelő ösztönző erre a célra; az egymástól függetlenül cselekvő tagállamok nem tudnak ilyen intézkedést bevezetni közösségi dimenzió nélkül, mivel az ilyen rendelkezés elfogadása ellentétes lenne a 65/65/EGK irányelvvél; amennyiben ilyen intézkedéseket koordináció nélkül fogadnának el a tagállamok, az akadályozná a Közösségen belüli kereskedelmet, ami a versény torzulásához vezetne, és ellentétes lenne az egységes piac elvével; a piaci kizárólagosságot ugyanakkor korlátozni kell arra az egyedi terápiás alkalmazási területre, amelyre a ritka betegségek gyógyszerei minősítést elnyerték, a szellemi tulajdonjogok sérelme nélkül; a betegek érdekében a ritka betegségek gyógyszereinek biztosított piaci kizárólagosság nem akadályozhatja olyan hasonló gyógyszerek forgalomba hozatalát, amelyek jelentős kedvező hatást gyakorolnak az adott betegségben szenvedőkre;
- (9) ritka betegségek gyógyszereinek az e rendelet szerint minősített szponzorai legyenek teljes mértékben jogosultak azokra az ösztönzőkre, amelyeket a Közösség vagy a tagállamok ítélnék oda az ilyen betegségek – beleértve a ritka betegségeket is – diagnosztizálására, megelőzésére vagy kezelésére szolgáló gyógyszerek kutatásának és fejlesztésének támogatása céljából;
- (10) a negyedik kutatási és technológiafejlesztési keretprogram Biomed 2 elnevezésű különleges programja (1994-től 1998-ig) támogatta a ritka betegségek kezelésére irányuló kutatásokat, beleértve a ritka betegségek gyógyszereinek gyors fejlesztésére alkalmas sémák módszereit és az Európában rendelkezésre álló ritka betegségek gyógyszereinek jegyzékét; ezek a támogatások a nemzetek közötti együttműködés kialakításának célját szolgálták a ritka betegségek alapkutatása és klinikai kutatása terén; a ritka betegségek kutatása továbbra is kiemelt fontosságú a Közösségben, valamint az ötödik kutatási és technológiai fejlesztési keretprogram (1998-tól 2002-ig) is tartalmazza azt; e rendelettel létrehozza azokat a jogi kereteket, amelyek lehetővé teszik e kutatás eredményének gyors és hatékony átültetését;
- (11) a közegészség keretrendszerében a közösségi cselekvés számára kiemelt területet jelentenek a ritka betegségek; a Bizottság a közegészségügyi fellépés keretében, a ritka betegségekkel kapcsolatos közösségi cselekvési

programról szóló közleményében úgy határozott, hogy kapjanak elsőbbséget a közegészségügy keretein belül a ritka betegségek; az Európai Parlament és a Tanács elfogadta a közegészségügyi fellépés keretében a ritka betegségekkel kapcsolatos közösségi cselekvési program (1999-2003) elfogadásáról szóló, 1999. április 29-i 1295/1999/EK határozatot⁽²⁾, beleértve a tájékoztatásra vonatkozó tevékenységeket, a ritka betegségek csoportjainak kezelését a népességben és a megfelelő betegszervezetek támogatását; e rendelet hajtja végre a cselekvési programban meghatározott egyik prioritást,

ELFOGADTA EZT A RENDELETET:

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:

- „gyógyszer”: emberi felhasználásra szánt gyógyszer a 65/65/EGK rendelet 2. cikkének meghatározása szerint;
- „ritka betegségek gyógyszerei”: az e rendelet előírásai szerint így minősített gyógyszer;
- „szponzor”: a Közösségben letelepedett természetes, vagy ott székhellyel rendelkező jogi személy, aki/amely egy gyógyszer ritka betegségek gyógyszereiként való minősítését kezdeményezi, vagy már megszerezte ezt a minősítést;
- „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 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;

⁽¹⁾ HL L 22., 1965.2.9., 369. o. A legutóbb a 93/39/EGK irányelvvél (HL L 214., 1993.8.24., 22. o.) módosított irányelv.

⁽²⁾ HL L 155., 1999.6.22., 1. o.

és

- b) nem léteznek 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.

(2) A Bizottság az e cikk végrehajtásához szükséges rendelkezéseket egy végrehajtási rendelet formájában, a 2309/93/EGK tanácsi rendelet ⁽¹⁾ 72. cikkében meghatározott eljárás szerint fogadja el.

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:

- megvizsgálni minden olyan kérelmet, amely az egyes gyógyszerek ritka betegségek gyógyszereként való minősítésére vonatkozik, amelyet e rendeletnek megfelelően nyújtottak be;
- tanácsot adni a Bizottságnak az Európai Unió ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó politikájának kialakításához és fejlesztéséhez;
- segíteni a Bizottságot a nemzetközi kapcsolattartásban a ritka betegségek gyógyszereivel kapcsolatos ügyekben, és a beteget támogató csoportokkal való kapcsolattartásban;
- segíteni a Bizottságot a részletes iránymutatások összeállításában.

(3) A bizottság az egyes tagállamok által kijelölt egy-egy tagból, a Bizottság által a betegképviselői szervezetek képviselőitől 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 gyógyszer 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 szponzor neve vagy cégneve és állandó lakcíme/székhelye;
- a gyógyszer hatóanyagai;
- a javasolt terápiás alkalmazási terület;
- a 3. cikk (1) bekezdésében meghatározott kritériumoknak való megfelelés igazolása és a fejlesztés állapotának leírása, beleértve a várható alkalmazási területeket.

(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.

(8) Az ügynökség haladéktalanul továbbítja a bizottság végső véleményét a Bizottságnak, amely a vélemény kézhezvételétől számított 30 napon belül határozatot fogad el. Amennyiben kivételként a határozattervezet nincs összhangban a bizottság véleményével, a határozatot a 2309/93/EGK rendelet 73. cikkében meghatározott eljárás szerint fogadják el. A szponzort, az ügynökséget és a tagállamok illetékes hatóságait értesítik a határozatról.

(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 gyógyszer minősítés más szponzorral 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.

⁽¹⁾ HL L 214., 1993.8.24., 1. o. A 649/98/EK bizottsági rendelettel (HL L 88., 1998.3.24., 7. o.) módosított rendelet.

(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.

8. cikk

Piaci kizárólagosság

(1) Ha a 2309/93/EGK rendelet szerint kiadják a ritka betegségek gyógyszereinek forgalomba hozatali engedélyt, 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.

(4) A Bizottság végrehajtási rendelet formájában elfogadja a „hasonló gyógyszer” és a „klinikailag nagyobb hatásosság” kifejezések fogalm meghatározását a 2309/93/EGK rendelet 72. cikkében meghatározott eljárás szerint.

(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.

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.

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.

Kelt Brüsszelben, 1999. december 16-án.

az Európai Parlament részéről

az elnök

N. FONTAINE

a Tanács részéről

az elnök

K. HEMILÄ