



AZ EURÓPAI KÖZÖSSÉGEK BIZOTTSÁGA

Brüsszel, 29.9.2004
COM(2004) 599 végleges

2004/0217 (COD)

Javaslat

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS RENDELETE

**gyógyszerkészítmények gyermekgyógyászati felhasználásáról, valamint az 1768/92/EGK
rendelet, a 2001/83/EK irányelv és a 726/2004/EK rendelet módosításáról**

(előterjesztő: a Bizottság)

{SEC(2004) 1144}

INDOKOLÁS

1. BEVEZETŐ ÉS HÁTTÉRINFORMÁCIÓ

A közegészségügyi megfontolások és okaik

A gyermekpopuláció sebezhető csoport, amely a felnőttekhez képest fejlődési, fiziológiai és pszichológiai eltéréseket mutat, ami az életkor és a fejlettség szerinti gyógyszerkutatót különösen fontossá teszi. A felnőtteknél tapasztalható helyzettel ellentétben a gyermekek kezelésére használt gyógyszerek több mint 50 %-át nem vizsgálták be és nem engedélyezték a gyermekek körében történő felhasználásra. Európa gyermekeinek egészsége – és ezért életminősége – szempontjából káros lehet az ő felhasználásukra szánt gyógyszerek tesztelésének és engedélyeztetésének hiánya.

Annak ellenére, hogy fennállhatnak aggodalmak a gyermekpopuláció körében végzett kipróbálással kapcsolatban. Ezzel azokat az etikai problémákat kell szembeállítani, hogy a gyógyszereket egy olyan populáció kapja, amelynek körében azt nem tesztelték, és ezért azok hatásai – akár pozitívak, akár negatívak – nem ismertek. A gyermekek körében végzett kipróbálásokkal kapcsolatos aggodalmakat illetően a klinikai vizsgálatokról szóló EU-irányelv¹ konkrét követelményeket határoz meg azoknak a gyermekeknek a védelmére, akik klinikai vizsgálatokban vesznek részt az EU-ban.

Kapcsolódó kezdeményezések: EU-szabályozás a ritka betegségek gyógyszereire és az USA-jogalkotás a gyermekek számára készült gyógyszerekről

A ritka betegségek kezelésével kapcsolatos kutatás hiánya a Bizottságot arra indította, hogy javaslatot tegyen a ritka gyógyszerkészítményekről szóló rendeletre, amelyet aztán 1999 decemberében fogadtak el. Ez a rendelet sikeresnek bizonyult a ritka betegségek kezelésére használt gyógyszerek engedélyezéséhez vezető kutatás ösztönzésében.

Az USA-ban külön szabályozást vezettek be a gyermekekkel végzett klinikai vizsgálatok teljesítményének növelése érdekében, amely az ösztönzők és a köteleességek összetett intézkedéseit tartalmazza, amelyek sikeresnek bizonyultak a gyermekgyógyászatban használt gyógyszerkészítmények fejlesztésében.

A Tanács rendelete

A Tanács 2000. december 14-i rendelete felhívta a Bizottságot arra, hogy tegyen javaslatokat, ösztönzők, szabályozási intézkedések vagy egyéb támogató intézkedések formájában a klinikai kutatás-fejlesztés vonatkozásában, annak biztosítására, hogy a gyermekek számára készült új gyógyszerkészítmények és a már piacon lévő gyógyszerkészítmények teljes mértékben igazodjanak a gyermekek sajátos szükségleteihez.

¹ HL L 121, 2001.05.01., 34. o.

2. INDOKOLÁS

Célkitűzés

Az átfogó szabályozási cél az, hogy javuljon Európa gyermekeinek egészsége, a gyermekek által használt gyógyszerekkel kapcsolatos kutatás-fejlesztés és engedélyeztetés növelése által.

Az általános célkitűzések a következők: növelni a gyermekek körében történő felhasználásra szánt gyógyszerek fejlesztését, biztosítani, hogy a gyermekek kezelésére használt gyógyszerek magas minőségi színvonalú kutatás tárgyát képezzék; gondoskodni arról, hogy a gyermekek kezelésére használt gyógyszerek megfelelő, a gyermekek körében történő felhasználásra szóló engedélyt kapjanak; javítani a gyermekeknél használt gyógyszerek felhasználásával kapcsolatos tájékoztatást, illetve ezeket a célkitűzéseket anélkül kell elérni, hogy gyermekeket szükségtelen klinikai vizsgálatoknak vessenek alá, illetve teljes mértékben be kell tartani az EU klinikai vizsgálatokkal kapcsolatos irányelvét.

Alkalmazási kör, jogalap és eljárás

A javasolt rendszer az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekre vonatkozik, a 2001/83/EK irányelv értelmezésében.

A javaslat az EK-Szerződés 95. cikkén alapul. A 95. cikk, amely a 251. cikkben ismertetett együttdöntési eljárást írja elő, képezi a jogi alapot a Szerződés 14. cikkében meghatározott célok elérésére, amelyek tartalmazzák az áruk szabad mozgását (14. cikk (2) bekezdése), ebben az esetben a humán gyógyszerkészítményekét. Miközben figyelembe kell venni azt a tényt, hogy a gyógyszerkészítmények gyártásával és forgalmazásával kapcsolatos rendeleteknek alapvetően a közegészség megőrzését kell céloznia, ezt a célt olyan eszközökkel kell elérni, amelyek nem akadályozzák a gyógyszerkészítmények szabad mozgását a Közösségen belül. Amióta az Amszterdami szerződés hatályba lépett, az Európai Parlament és a Tanács által ezen a területen elfogadott valamennyi jogszabályt ennek a cikknek az alapján fogadták el, mivel a nemzeti törvényi, rendeleti és igazgatási rendelkezések inkább korlátozóan hatnak a Közösségen belüli kereskedelemre, és így közvetlen hatást gyakorolnak a belső piac működésére. Bármely, a gyógyszerkészítmények gyermekgyógyászati felhasználásának fejlesztését és engedélyeztetését segítő akció európai szinten akkor jogos, ha ezeknek az akadályoknak a megelőzésére és elhárítására törekszik.

Szubszidiaritás és arányosság

A javaslat a gyógyszerekre vonatkozó, meglévő szabályozási keretek között szerzett európai tapasztalatokra épít, valamint átvesz követelményeket és ösztönzőket a gyermekgyógyászati készítményekre vonatkozó USA-beli és a ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó EU-beli szabályozásból. A rendelkezésre álló bizonyítékok alapján az a következtetés alakult ki, hogy a gyermekeknek való gyógyszerekkel kapcsolatos jelenlegi közegészségügyi gond valószínűleg nem oldódik meg az EU-ban mindaddig, amíg egy specifikus jogszabályrendszer kialakítására sor nem kerül.

A közösségi cselekvés lehetővé teszi a gyógyszeripari ágazatban létrejött eszközök lehető legjobb felhasználását a belső piac kiteljesedése érdekében. Ezen felül, a gyermekeknek való gyógyszerek engedélyeztetése egész Európát érintő kérdés. A tagállamoknak azonban fontos szerepet kell játszaniuk a javaslat célkitűzéseinek teljesítésében.

Jogszályi és igazgatási egyszerűsítések

A javaslatban szereplő összes kulcsfontosságú intézkedések a gyógyszertermékek szabályozására érvényben lévő keretre építenek, vagy azt erősítik. Ez a javaslat közvetlenül kapcsolódik öt meglévő közösségi jogszabály szövegéhez: a 2001. november 6-i 2001/83/EK európai parlamenti és tanácsi irányelv², amely meghatározza a gyógyszertermékek szabályozási kereteit; a 2004. március 31-i 726/2004/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet³, amely létrehozta az Európai Gyógyszerügynökséget (EMA) megteremtette a központosított engedélyezési eljárást a gyógyszertermékek számára; a 2001. április 4-i 2001/20/EK európai parlamenti és tanácsi irányelv⁴, amely a klinikai vizsgálatok szabályozásának és lefolytatásának kereteit adja meg a Közösségben; a 141/2000/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet⁴, amely létrehozta a közösségi rendszert a gyógyszerkészítményeknek ritka betegségek gyógyszereiként történő meghatározására és az ösztönzőket fejlesztésükhöz és engedélyeztetésükhöz; illetve az 1992. június 18-i 1768/92/EGK tanácsi rendelet⁵, amely a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítványt teremtette meg.

Ez a szabályozási javaslat pontos jogi keretet állapít meg, ahol azonban részletesebb végrehajtási rendelkezésekre van szükség, egy közösségi rendelet van tervbe véve, és a javaslat az, hogy a Bizottság fogadjon el további rendelkezéseket iránymutatásként, a tagállamokkal, az EMA-val és az érdekeltekkel folytatott konzultáció alapján.

Összhang az egyéb közösségi politikákkal

Törekedni kell a kutatásfejlesztés, valamint az egészség- és fogyasztóvédelem területén folytatott tevékenységekkel való összhangra.

Külső konzultáció

Az érdekelt felekkel széleskörű konzultációk folytak ezzel a javaslattal kapcsolatban. A Bizottság által folytatott konzultáció részletezését az ehhez a javaslathoz csatolt „Kibővített hatásvizsgálat” tartalmazza.

² HL L 311, 2001.11.28., 67. o.

³ HL L 136, 2004.04.30., 1. o.

⁴ HL L 18, 2000.01.22., 1. o.

⁵ HL L 182, 1992.07.02., 1. o.

A javaslat értékelése: Kibővített hatásvizsgálat

Ez a javaslat volt a tárgya a Bizottság – az ehhez a javaslathoz csatolt – kibővített hatásvizsgálatának, amely egy független szerződéses tanulmányban összegyűjtött adatokon alapult.

3. BEMUTATÁS

A javaslat fő elemeinek rövid leírása itt szerepel. Részletesebb leírásért utalunk a Bizottság indoklására, amely ennek a javaslatnak a mellékletében szerepel.

A javaslatban szereplő főbb intézkedések

A Gyermekgyógyászati Bizottság

Egy olyan bizottság, amely szakértelemmel rendelkezik a gyermekeknek szánt gyógyszerekkel kapcsolatos minden aspektusban, központi eleme a javaslatnak és megvalósulásának. A Gyermekgyógyászati Bizottság elsődlegesen a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek értékeléséért és egyeztetéséért, valamint az alábbiakban ismertetett mentesítési és halasztási kérelmekért felel majd. Ezen felül értékelheti a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek betartását, és felkérhető arra, hogy értékelje a vizsgálódások eredményeit. Minden munkájában mérlegeli a gyermekek tanulmányozásából adódó potenciálisan jelentős terápiás hasznokat, beleértve a szükségtelen tanulmányozás elkerülésének igényét, igazodik a meglévő közösségi követelményekhez, és kerülni fogja, hogy bármiféle késlekedés legyen a gyógyszereknek más populációk számára történő engedélyezésében a gyermekek körében történő tanulmányozás követelményeiből eredően.

A forgalomba hozatali engedély követelményei

A gyermekgyógyászati vizsgálati terv lesz az a dokumentum, amelyre a gyermekek körében végzett vizsgálódások alapulnak, és amelyet a Gyermekgyógyászati Bizottsággal engedélyeztetni kell. Az ilyen tervek értékelése során a Gyermekgyógyászati Bizottságnak két átfogó elvet kell figyelembe vennie: azt, hogy vizsgálatokat csak akkor szabad végezni, ha annak potenciális terápiás haszna a gyermekek számára (és kerülni kell a vizsgálatok párhuzamosságait), és azt, hogy a gyermekeken végzett vizsgálatok követelményei miatt nem késhet a többi populáció számára szolgáló gyógyszerek engedélyeztetése.

Az egyik alapvető intézkedés egy új követelmény, miszerint a vizsgálatok eredményeit egy teljes körű, egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően kell teljesíteni, amelyet a kérelmek beadásakor be kell mutatni, kivéve, ha mentesítést vagy halasztást adtak meg rá. Ez az alapvető követelmény annak biztosítására került be, hogy a gyermekek számára a gyógyszereket a terápiás igényeik alapján fejlesszék ki. A gyermekgyógyászati vizsgálati terv lesz az az alap, amely szerint az ennek a követelménynek való megfelelés megítélése történik.

Mentesítések a követelmények alól

Nem minden, felnőttek számára kifejlesztett gyógyszer lesz alkalmas a gyermekek számára, vagy lesz szükséges a gyermekek kezeléséhez és a gyermekekkel végzett szükségtelen vizsgálatokat kerülni kell. Az ilyen helyzetek kezelésére javasolt a fent ismertetett követelmények alóli mentesítések rendszere. A Gyermekgyógyászati Bizottság létrehozása után rögtön megkezdte munkáját a konkrét gyógyszerkészítmények és gyógyszerosztályok mentesítési jegyzékeivel. A közzétett jegyzékekben nem szereplő termékek esetében javasolt, hogy a vállalatok egy egyszerű eljárás keretében kérhessenek mentesítést.

Halasztások a gyermekekkel végzett vizsgálatok megkezdésének vagy befejezésének időzítéséhez képest

Egyes esetekben a gyermekekkel végzett vizsgálatok megfelelőbbek lesznek, ha van némi kezdeti tapasztalat a terméknek felnőtteknél történő felhasználásával, illetve a gyermekekkel végzett vizsgálatok több időt vehetnek igénybe, mint a felnőttek vizsgálatai. Ez vonatkozhat a teljes gyermekpopulációra vagy annak csak egy alcsoportjára. Ezért, a helyzet kezelése érdekében, javasolt egy halasztási rendszer, amely egy olyan eljárással párosul, miszerint ezeket a Gyermekgyógyászati Bizottsággal egyeztetni kell.

A forgalomba hozatali engedély eljárásai

A meglévő gyógyszerészeti szabályozásban meghatározott eljárásokat a javaslatok nem módosítják. A fenti követelmények szükségessé teszik, hogy az illetékes hatóságok ellenőrizzék az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv betartását a forgalomba hozatali engedélyekért való folyamodás meglévő jóváhagyási lépésénél. A biztonság, a minőség és a hatásosság értékelése a gyermekgyógyszerek esetében, illetve a forgalomba hozatali engedélyek megadása az illetékes hatóságok feladata marad. A gyermekeknek szánt gyógyszerek hozzáférhetőségének a Közösség egész területén való növelése érdekében – mivel a javaslatokban szereplő követelmények az egész Közösségre érvényes juttatásokhoz kötődnek –, illetve a Közösségen belüli szabad kereskedelem torzulásának megelőzésére a javaslat az, hogy az a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem, amely egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv eredményei alapján legalább egy gyermekgyógyászati indikációt tartalmaz, a központosított közösségi eljárást használhatja.

A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt forgalomba hozatali engedély (Paediatric Use Marketing Authorisation, PUMA)

Egy olyan eszköz létrehozása érdekében, amely ösztönzést teremt a lejárt szabadalmú gyógyszerek vonatkozásában, egy újfajta forgalomba hozatali engedély, a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt forgalomba hozatali engedély (PUMA) javasolt. A PUMA a forgalomba hozatali engedély kiadásának meglévő rendszerét használja majd, de kifejezetten az olyan gyógyszerkészítményekre szól, amelyeket kizárólag a gyermekeknél történő felhasználásra fejlesztettek ki.

Annak a gyógyszerkészítménynek a gyártója, amely megkapta a PUMA-t, használhatja az ennek megfelelő, a felnőttek számára engedélyezett termék meglévő márkanévét, de minden olyan gyógyszer esetében, amely a PUMA-t megkapta, a termék nevében szerepelnie kell, felső indexként, a „P” betűnek, a megismerés és a receptírás segítésére. Ily módon a gyógyszeripari vállalatok tökéletesebben követhetik a meglévő márkák ismertségéből, miközben hasznot húznak az új forgalomba hozatali engedélyhez társuló adatvédelemből. A PUMA-hoz társuló adatvédelmi időszak értékesebbnek bizonyulhat, az Európai Bíróság nemrégiben történt, az adatvédelmi szabályokkal kapcsolatos esetjogi értelmezésére⁶ figyelemmel.

A PUMA iránti kérelemhez be kell nyújtani azokat az adatokat, amelyek alapján megállapítható a biztonság, a minőség és a hatásosság, kifejezetten a gyermekeknél, amelyeket az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv alapján kell összegyűjteni. A PUMA iránti kérelem azonban hivatkozhat egy olyan gyógyszerkészítmény dossziéjában szereplő adatokra, amely a Közösségben az engedélyt most vagy korábban megkapta.

A kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány időtartamának meghosszabbítása

Az új gyógyszerek és a szabadalmi oltalomban részesülő vagy egy kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvánnyal (Supplementary Protection Certificate, SPC) ellátott termékek esetében, ha valamennyi, az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervben szereplő intézkedést betartottak, ha a termék valamennyi tagállamban engedélyezett, és ha a vizsgálatok eredményeiről szóló lényeges információk szerepelnek a termék ismertetőjében, az megkapja a hathónapos SPC-hosszabbítást. Ennek mechanizmusa az lesz, hogy a forgalomba hozatali engedélybe bekerül, hogy ezeket teljesítették. Ebben az esetben a vállalatok beadhatják a forgalomba hozatali engedélyeket a szabadalmi hivataloknak, amelyek megadják az SPC-hosszabbítást. Annak, hogy valamennyi tagállamban rendelkezni kell a forgalomba hozatali engedéllyel, azért követelmény, hogy ne legyenek az egész Közösségre kiterjedő juttatások anélkül, hogy az egész Közösségre kiterjedő hasznok keletkezzenek a gyermekek egészsége szempontjából. Mivel a juttatás a gyermekek körében elvégzett vizsgálatokért, nem pedig annak bemutatásáért jár, hogy a termék biztonságos és hatásos a gyermekeknél, a juttatás megadására akkor is sor kerül, ha a gyermekgyógyászati terápiás javallat megadása nem történik meg. A gyermekpopulációban való felhasználásra vonatkozó információkat azonban bele kell foglalni az engedélyezett termékismertetőbe.

Meghosszabbított piaci kizárólagosság a ritka betegségek elleni gyógyszerkészítményekre

Az EU-nak a ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó szabályozása szerint azok a gyógyszerkészítmények, amelyeket ritka betegségek elleni gyógyszerkészítményeknek minősítenek, tízévi piaci kizárólagosságot kapnak a ritka betegség elleni indikációra vonatkozó forgalomba hozatali engedély megadásakor. Mivel az ilyen termékek gyakran nem részesülnek szabadalmi oltalomban, az SPC meghosszabbításának megadása nem alkalmazható, amikor viszont szabadalmi védelmet élveznek, az SPC meghosszabbítása kettős ösztönzést jelentene. Ezért javasolt, hogy a ritka betegségek gyógyszereinek piaci kizárólagosságára megállapított tízévi időszakot tizenkét évre kell meghosszabbítani,

⁶ C-106/01 eset, Novartis Pharmaceuticals UK, 2004. április 29-I ítélet, felülvizsgálata még nem történt meg.

amennyiben a gyermekeknél való felhasználással kapcsolatos adatszolgáltatási követelményeknek teljes mértékben megfelelnek.

Gyermekgyógyászati vizsgálati program Gyógyszervizsgálat Európa gyermekei számára (Medicines Investigation for the Children of Europe, MICE)

További eszköz lehetne a gyermekek számára kifejlesztett és engedélyezett vényköteles gyógyszerek magas minőségi színvonalú kutatásának előmozdítására a finanszírozás biztosítása a szabadalmi oltalommal vagy kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvánnyal nem rendelkező gyógyszerek gyermekgyógyászati felhasználásával kapcsolatos vizsgálatokra. A Bizottságnak szándékában áll megvizsgálni egy gyermekgyógyászati vizsgálati program elindításának lehetőségét: Gyógyszervizsgálat Európa gyermekei számára, a meglévő közösségi programok figyelembevételével.

Tájékoztatás a gyermekeknek szánt gyógyszerekről

Ennek a javaslatnak az egyik célkitűzése az, hogy növelni kell a gyermekeknek szánt gyógyszerek felhasználásával kapcsolatban rendelkezésre álló tájékoztatást. Az információk megnövekedett hozzáférhetősége révén a gyermekeknek szánt gyógyszerek biztonságos és hatásos felhasználása fokozható, ami ezáltal támogatja a közegészségügyet. Ezen kívül, az információk hozzáférhetősége elősegíti a gyermekekkel végzett párhuzamos vizsgálatok megakadályozását és a gyermekekkel végzett szükségtelen vizsgálatok lefolytatását.

A klinikai vizsgálatokról szóló irányelv létrehozta a klinikai vizsgálatok közösségi adatbázisát (EudraCT). Javasolt, hogy erre az adatbázisra építve olyan információforrás jöjjön létre, amely tartalmazza mind a Közösségben, mind a harmadik országokban folyamatban lévő és elvégzett gyermekgyógyászati vizsgálatokat.

Ezen kívül – a gyógyszerek jelenlegi európai felhasználására vonatkozó felmérés alapján – a Gyermekgyógyászati Bizottság leltárt készít a gyermekek terápiás szükségleteiről.

Javasolt az is, hogy meg kell teremteni egy közösségi hálózatot, amely összeköti a nemzeti hálózatokat és a klinikai vizsgálóközpontokat, annak érdekében, hogy kiépüljenek európai szinten a szükséges szakismeretek, illetve könnyebbé váljon a vizsgálatok lefolytatása, növekedjen az együttműködés és elkerülhetővé váljanak a vizsgálati párhuzamosságok.

A gyógyszeripari vállalatok egyes esetekben már végeztek klinikai vizsgálatokat gyermekekkel. Gyakran azonban ezeknek a vizsgálatoknak az eredményeit nem juttatták el az illetékes hatóságoknak és azok nem eredményezték a termékismertető felfrissítését. Ennek a problémának a kezelésére az a javaslat, hogy azok a vizsgálatok, amelyeket azelőtt befejeztek, mielőtt a javasolt jogszabály elfogadásra kerül, nem részesedhetnek azokban a juttatásokban és ösztönzőkben, amelyeket a javaslat az EU számára tartalmaz. Ezeket azonban figyelembe kell venni a javaslatokban szereplő követelményekhez, és a vállalatok számára kötelező lesz a vizsgálatok eredményeinek leadása az illetékes hatóságoknak, mielőtt a javasolt jogszabály elfogadásra kerül.

Egyéb intézkedések

Az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottságának, annak tudományos tanácsadói munkacsoportjának, illetve más, a gyógyszerekkel foglalkozó közösségi bizottságoknak és munkacsoportoknak, valamint a Gyermekgyógyászati Bizottságnak az irányítását az EMEA végzi. Ezen kívül javasolt az ingyenes tudományos tanácsadás az EMEA részéről a gyermekeknek szánt gyógyszerek kifejlesztésével foglalkozó megbízóknak.

A benyújtott javaslatok igényeket támasztanak az illetékes hatóságokkal, és különösen az EMEA-val szemben. Javasolt növelni az EMEA-nak juttatott közösségi támogatást az új feladatok figyelembevételével. A javaslatot egy pénzügyi kimutatás kíséri.

Javaslat

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS RENDELETE

gyógyszerkészítmények gyermekgyógyászati felhasználásáról, valamint az 1768/92/EGK rendelet, a 2001/83/EK irányelv és a 726/2004/EK rendelet módosításáról

(EGT vonatkozású szöveg)

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS AZ EURÓPAI UNIÓ TANÁCSA,

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

tekintettel a Bizottság javaslatára¹,

tekintettel az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményére²,

tekintettel a Régiók Bizottságának véleményére³,

összhangban a Szerződés 251. cikkében említett eljárással⁴,

mivel:

- (1) Mielőtt egy emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmény a piacra kerül egy vagy több tagállamban, általános érvénnyel kiterjedt vizsgálatokon kell átesniük, beleértve a preklinikai tesztek és a klinikai kipróbálásokat, annak biztosítására, hogy biztonságos legyen, jó minőségű és hatékony a célpopuláció által történő felhasználásban.
- (2) Ilyen tanulmányokat lehetséges, hogy nem folytattak le a gyermekeknél történő használatra, és a gyermekek kezelésére jelenleg használt gyógyszerek közül sokat nem vizsgáltak be vagy engedélyeztek ilyen felhasználásra. Egyedül a piaci erők bizonyultak elegendőnek ahhoz, hogy ösztönözzék a gyermekgyógyszerek megfelelő kutatását, fejlesztését és engedélyeztetését.
- (3) Azok a problémák, amelyeket a gyermekek számára megfelelően adaptált gyógyszerek hiánya eredményez, magukban foglalják a nem megfelelő adagolási információt, ami megnöveli a nem-kívánatos reakciók kockázatát, beleértve az elhalálozást, a hatástalan kezelést a túl alacsony adagolás miatt, azt, hogy a gyerekek nem juthatnak hozzá a

¹ HL C [...], [...], [...]. o.

² HL C [...], [...], [...]. o.

³ HL C [...], [...], [...]. o.

⁴ HL C [...], [...], [...]. o.

terápiás vívmányokhoz, valamint azt, hogy idejétmúlt formulákat használnak a gyermekek kezelésére, amelyek esetleg gyenge minőségűek.

- (4) Ennek a rendeletnek az a célja, hogy fokozza a gyermekeknél történő felhasználásra szánt gyógyszereknek a fejlesztését, biztosítsa, hogy a gyermekek kezelésére használt vényköteles gyógyszerek magas színvonalú kutatás tárgyát képezzék, és megfelelő engedélyeztetésen essenek át, valamint javuljon a rendelkezésre álló információ a gyógyszereknek a gyermekpopulációk körében való felhasználásáról. Ezeket a célkitűzéseket anélkül kellene elérni, hogy gyermekeket felesleges klinikai kipróbálásoknak tegyenek ki, és anélkül, hogy késlekedne a gyógyszerkészítmények engedélyeztetése a többi populáció számára.
- (5) Miközben figyelembe kell venni azt a tényt, hogy a gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos rendeleteknek alapvetően a közegészség megőrzését kell céloznia, ezt a célt olyan eszközökkel kell elérni, amelyek nem akadályozzák a gyógyszerkészítmények szabad mozgását a Közösségen belül. A gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos nemzeti törvényi, rendeleti és igazgatási rendelkezések hajlamosak a Közösségen belüli kereskedelmet korlátozni, és ezért közvetlenül hatnak a belső piac működésére. Bármely, a gyógyszerkészítmények gyermekgyógyászati felhasználásának fejlesztését és engedélyeztetését segítő akció ezért akkor jogos, ha ezeknek az akadályoknak a megelőzésére és elhárítására törekszik. A Szerződés 95. cikke ezért a megfelelő jogalapot jelenti. Szükségesnek bizonyult egy olyan rendszer kialakítása ezeknek a célkitűzéseknek az elérésére, amely mind kötelezettségeket, mind jutalmakat és ösztönzőket tartalmaz.
- (6) A kötelezettségek, illetve a juttatások és ösztönzők pontos jellegének figyelembe kell vennie az érintett konkrét gyógyszerkészítmények minősítését. A szabályozásnak a gyermekek számára szükséges valamennyi gyógyszerre vonatkoznia kell, és ezért alkalmazási körének magában kell foglalnia a fejlesztés alatt álló és még engedélyezésre váró, az engedélyezett, még szellemi jogi védelem alatt álló, illetve az engedélyezett, de szellemi jogi védelem alatt már nem álló termékeket.
- (7) A gyermekpopuláció körében folytatott vizsgálatokkal kapcsolatos esetleges aggodalmakkal az az etikai aggály állítandó szembe, miszerint egy populáció olyan gyógyszereket kap, amelyeket rá vonatkozóan nem teszteltek. A nem tesztelt gyógyszereknek a gyermekeknél történő felhasználásából adódó közegészségügyi fenyegetés biztonságosan megközelíthető a gyermekek számára adott gyógyszerek tanulmányozása révén, amelyeket gondosan ellenőrizni és figyelni kell, azoknak a sajátos követelményeknek a révén, amelyeket a Közösségben klinikai vizsgálatokban részt vevő gyermekek védelmére az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekkel végzett klinikai vizsgálatok során alkalmazandó helyes klinikai gyakorlat bevezetésére vonatkozó tagállami, törvényi, rendeleti és közigazgatási rendelkezések közelítéséről szóló, 2001. április 4-i, 2001/20/EK európai parlamenti és tanácsi irányelv állapított meg.⁵
- (8) Helyénvaló létrehozni egy olyan tudományos bizottságot, a Gyermekgyógyászati Bizottságot, az Európai Gyógyszerértékelő Ügynökségen belül (a továbbiakban: az Ügynökség), amely a kellő tapasztalattal és hatáskörrel rendelkezik a

⁵ HL L 121, 2001.05.01., 34. o.

gyermekpopulációk kezelésére használt gyógyszerkészítmények fejlesztésében és valamennyi aspektusuk értékelésében. A Gyermekgyógyászati Bizottság elsődlegesen a gyermekgyógyászati vizsgálati tervek értékeléséért és egyeztetéséért, illetve annak mentességi és felfüggesztési rendszeréért kellene felelnie, valamint központi szerepet kellene játszania az ebben a rendeletben foglalt különféle támogatási intézkedések vonatkozásában is. Minden munkájában a Gyermekgyógyászati Bizottságnak mérlegelnie kell a gyermekek tanulmányozásából adódó potenciálisan jelentős terápiás hasznokat, beleértve a szükségtelen tanulmányozás elkerülésének igényét, követnie kell a meglévő közösségi követelményeket, beleértve a 2001/20/EK irányelvet, valamint a Nemzetközi Harmonizációs Konferenciának (ICH) a gyermekek számára kifejlesztett gyógyszerekről szóló E11 irányelvet, és el kell kerülnie, hogy bármiféle késlekedés legyen a gyógyszereknek más populációk számára történő engedélyezésében a gyermekeknél történő tanulmányozás követelményeiből eredően.

- (9) Az Ügynökség számára meg kell állapítani azokat az eljárásokat, amelyek szerint a gyermekgyógyászati vizsgálati terv egyeztetése és módosítása történik, azé a dokumentumé, amelyre a gyermekeknek szánt gyógyszerek fejlesztésének és engedélyezésének alapulnia kell. A gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek tartalmaznia kell a részleteket az időzítésről és a javasolt intézkedésekről a gyermekpopulációban használt gyógyszerkészítmények minőségének, biztonságának és hatékonyságának megmutatására. Mivel a gyermekpopuláció valójában számos szubpopulációból áll, a gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek konkretizálnia kell, hogy mely szubpopulációs igényeket kell tanulmányozni, milyen eszközökkel és mikorra.
- (10) A gyermekgyógyászati vizsgálati terv bevezetése az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekre vonatkozó jogi kereteken belül annak biztosítását célozza, hogy a gyermekek számára történő gyógyszerfejlesztés a gyógyszerkészítmények fejlesztésének szerves részévé váljon, beleintegrálódva a felnőtteknek szóló fejlesztési programba. Ily módon a gyermekgyógyászati vizsgálati terveket a termékfejlesztés korai szakaszában be kellene nyújtani, kellő időben ahhoz, hogy a gyermekeknél a vizsgálatok elvégezhetőek legyenek azt megelőzően, hogy az engedély iránti kérelmeket beadják.
- (11) Szükség van egy olyan követelmény bevezetésére az új gyógyszerkészítményeknél és az engedélyezett, szabadalommal vagy kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvánnyal rendelkező gyógyszerkészítményeknél, hogy mutassák be a gyermekeknél - egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint – elvégzett vizsgálatok eredményeit ahhoz, hogy a forgalomba hozatali engedély vagy egy új indikációra, új gyógyszerformára vagy új alkalmazási módra a jóváhagyást megkapják. A gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek kell lennie annak az alapnak, amely szerint az ennek a követelménynek való megfelelés megítélése történik. Ez azonban nem vonatkozik a generikumokra vagy hasonló biológiai gyógyszerkészítményekre és jól bevált gyógyszerhasználati eljárásokon keresztül engedélyezett gyógyszerkészítményekre, mint a homeopátiás gyógyszerkészítmények és a hagyományos gyógynövény-készítmények, amelyek engedélyeztetése az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek közösségi kódexéről szóló, 2001. november 6-i,

2001/83/EK európai parlamenti és tanácsi irányelv egyszerűsített bejegyzési eljárásai szerint történik.⁶

- (12) Annak biztosítására, hogy a gyermekekkel kapcsolatos kutatás csak terápiás igényeik kielégítését szolgálja, szükség van olyan eljárások kialakítására, amelyek révén az Ügynökség mentesíthet ez alól a követelmény alól konkrét termékeket vagy a gyógyszerkészítmények osztályait vagy azok egy részét, amit aztán az Ügynökség közzé tesz. Mivel a tudománnyal és az orvostudománnyal kapcsolatos ismeretek fejlődnek az idő előrehaladásával, módot kell adni arra, hogy a mentesítések jegyzékét módosítani lehessen. Ha azonban egy mentesítést hatálytalanítanak, a követelményt egy megadott ideig nem kellene alkalmazni, hogy legyen idő legalább egy gyermekgyógyászati vizsgálati terv egyeztetésére és a vizsgálatok kezdeményezésére a gyermekek körében a forgalomba hozatali engedély kérelmezését megelőzően.
- (13) Bizonyos esetekben az Ügynökségnek el kellene halasztania a gyermekgyógyászati vizsgálati tervben szereplő néhány vagy valamennyi intézkedés kezdeményezését vagy véghezvitelét, tekintetbe véve annak biztosítását, hogy kutatás csak akkor történjen, amikor az biztonságos és etikus, és a gyermekek körében mért kutatási adatok követelménye ne akadályozza meg vagy késleltesse a gyógyszereknek más populációk számára történő engedélyezését.
- (14) Ingyenes tudományos tanácsadást kell biztosítani az Ügynökség részéről, ösztönzőképpen a megbízók számára, hogy fejlesszenek ki gyógyszereket gyermekek számára. A tudományos következetesség biztosítására az Ügynökségnek kellene működtetnie a Gyermekgyógyászati Bizottság és az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottságának tudományos tanácsadási munkacsoportja közötti kapcsolódási pontokat, valamint az interakciót a Gyermekgyógyászati Bizottság és a Közösség más, a gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos bizottságai és munkacsoportjai között.
- (15) Az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények forgalomba hozatali engedélyével kapcsolatos meglévő eljárásokat nem kell megváltoztatni. Abból a követelményből adódóan azonban, hogy a gyermekek körében elvégzett vizsgálatok eredményét egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint kell bemutatni, az illetékes hatóságoknak ellenőrizniük kell az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek való megfelelést, és az esetleges mentesítéseket és halasztásokat a forgalomba hozatali engedély iránti kérelmek jóváhagyásának adott lépcsőfokán. A biztonság, a minőség és a hatásosság értékelése a gyermekgyógyszerek esetében, illetve a forgalomba hozatali engedélyek megadása továbbra is az illetékes hatóságok feladata lenne. Biztosítani kell a lehetőséget arra, hogy a Gyermekgyógyászati Bizottságtól véleményt lehessen kérni egy gyógyszer megfelelőségéről, a biztonságáról, a minőségről és a hatásról a gyermekek körében.
- (16) El kell látni az egészségügyi szakembereket és a pácienseket információkkal a gyógyszereknek gyermekeknél történő biztonságos és hatásos használatával kapcsolatban, és – átláthatósági intézkedésként – a gyermekekkel folytatott vizsgálatok eredményeiről szóló, valamint a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekkel,

⁶ HL L 311, 2001.11.28., 97. o. Legutóbb módosítva a 2004/27/EK irányelvvel (HL L 136, 2004.04.30., 34.o.

mentesítésekkel és halasztásokkal kapcsolatos tájékoztatásnak is szerepelnie kell a termékismertetőben. Amikor a gyermekgyógyászati vizsgálati terv valamennyi intézkedése teljesítésre került, ezt a tényt fel kell jegyezni a forgalomba hozatali engedélyben, és azután ennek kell lennie annak alapnak, amely szerint a vállalatok a megfelelőségért juttatásokat szerezhettek.

- (17) A gyermekeknél történő felhasználásra engedélyezett gyógyszerek megkülönböztetésére az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv teljesítését követően, illetve azok felírásának engedélyezésére, az az előírás született, hogy azoknak a gyógyszerkészítményeknek a nevében, amelyeknek – az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv teljesítését követően – megadták a gyermekeknél történő felhasználásra vonatkozó terápiás javallatot, szerepeljen egy „P” betű, kékkel szedve, egy csillag körvonalával körbevéve, amely szintén kék színű.
- (18) Annak érdekében, hogy ösztönzés jöjjön létre a szellemi tulajdoni védelemmel már nem rendelkező engedélyezett termékek vonatkozásában, létre kell hozni egy újfajta forgalomba hozatali engedélyt: a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedélyt. A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedélyt a forgalomba hozatali engedély kiadásának meglévő eljárásaival kell megadni, de kifejezetten az olyan gyógyszerkészítményekre alkalmazandó, amelyeket kizárólag a gyermekeknél történő felhasználásra fejlesztettek ki. Lehetővé kell tenni, hogy annak a gyógyszerkészítménynek a neve, amelynek a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló hozatali engedélyt kiadták, felhasználja a felnőttek számára engedélyezett megfelelő termék meglévő márkanévét, annak érdekében, hogy tökéletesebben kövessék a márka meglévő elismertségéből, miközben hasznot húz abból is, hogy az új forgalomba hozatali engedély miatt adatkizárólagosságot kap.
- (19) A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló hozatali engedély iránti kérelemnek tartalmaznia kell – az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően összegyűjtött – a terméknek a gyermekpopulációban való felhasználására vonatkozó adatokat. Ezek az adatok kigyűjthetők a publikált irodalomból, vagy lehetnek új tanulmányok. A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló hozatali engedély iránti kérelemnek hivatkoznia kell viszont egy olyan gyógyszerkészítménynek a dossziéjában szereplő adatokra, amely a Közösségben az engedélyt most vagy korábban megkapta. A szándék az, hogy ez további ösztönzést biztosít a kis- és közepes vállalkozások bevonására, beleértve a generikus vállalatokat is, a lejárt szabadalmú gyógyszereknek gyermekek számára történő fejlesztéséhez.
- (20) A rendeletnek tartalmaznia kell olyan intézkedéseket, amelyet maximálisra növelik a Közösség népessége számára a gyermekgyógyászati felhasználásra kipróbált és adaptált új gyógyszerkészítmények hozzáférhetőségét, illetve minimálisra csökkentik annak az esélyét, hogy a Közösség egészét érintő juttatások és ösztönzők megadására úgy kerüljön sor, hogy a Közösség gyermekpopulációjának egyes részei nem részesedhetnek az újonnan engedélyezett gyógyszer elérhetőségében. A forgalomba hozatali engedély iránti kérelem, beleértve a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló hozatali engedély iránti kérelmet is, amely tartalmazza egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint végzett kutatás eredményeit, alkalmazhatja azt a központosított engedélyezési eljárást, amelyet az emberi és állatgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények engedélyezésével és felügyeletével kapcsolatos közösségi eljárások megállapításáról és az Európai Gyógyszerügynökség

felállításáról szóló, 2004. március 31-i 726/2004/EK európai parlamenti és tanácsi határozat⁷ 5.-15. cikkelyei állapítanak meg.

- (21) Amikor egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv gyermekgyógyászati terápiás javallat engedélyezését eredményezte egy olyan termék számára, amely más terápiás javallatokkal már forgalomban van, a forgalomba hozatali engedély birtokosát kötelezni kell arra, hogy a terméket – a gyermekgyógyászati információ figyelembevételével – a terápiás javallat jóváhagyásától számított két éven belül piacra vigye. Ez a követelmény csak a már engedélyezett termékekre vonatkozhat, és nem a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély útján engedélyezett gyógyszerekre.
- (22) Egy választható eljárást is meg kellene állapítani arra, hogy egyetlen, az egész Közösségre kiterjedő véleményt lehessen beszerezni egy nemzeti keretek között engedélyezett gyógyszerkészítményre, amikor a gyermekekre vonatkozó, az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervet követő adatok részét képezik a forgalomba hozatali engedély iránti kérelemnek. Ennek elérésére a 2001/83/EK irányelv 32. és 34. cikkében meghatározott eljárást lehet alkalmazni. Ez lehetővé teszi, hogy egy közösségi szinten összehangolt határozat szülessen meg a gyógyszerkészítménynek gyermekeknél való felhasználásáról és annak bevezetéséről valamennyi nemzeti termékismertetőbe.
- (23) Alapvetően fontos annak biztosítása, hogy éljenek a mellékhatás-figyelés mechanizmusaival, a biztonsági adatoknak gyermekek körében történő gyűjtésével kapcsolatos sajátos kihívásoknak való megfelelés érdekében, beleértve a lehetséges hosszabb távú hatásokat. A gyermekeknél a hatásosság szükségessé tehet az engedélyezést követő kiegészítő vizsgálatokat is. Ezért egy további követelmény a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem beadásakor az, hogy az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint folytatott kutatások eredményein kívül a kérelmezőnek jeleznie kell, hogy miként javasolja a gyógyszerkészítmény felhasználásánál a lehetséges ellentétes reakciók és a gyermekpopulációban megmutatkozó hatásosságának hosszú távú utóellenőrzését biztosítani. Kiegészítésként, amikor van külön ok az aggodalomra, rendelkezni kell arról, hogy a kérelmezőtől meg lehessen követelni egy kockázatkezelési rendszer benyújtását és/vagy részletes utólagos piaci vizsgálatok elvégzését, a forgalomba hozatali engedély feltételeként.
- (24) Azok a gyógyszerek, amelyekre érvényes az a követelmény, hogy be kell nyújtani a gyermekgyógyászati adatokat, ha valamennyi, az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervben szereplő intézkedést betartottak, ha a termék valamennyi tagállamban engedélyezett, és ha a vizsgálatok eredményeiről szóló lényeges információk szerepelnek a termék ismertetőjében, akkor abban a juttatásban részesülnek, hogy megkapják az 1768/92/EGK tanácsi rendelet⁸ által létrehozott kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány hathónapos meghosszabbítását.

⁷ HL L 136, 2004.04.30., p. 1.

⁸ HL L 182, 1992.07.02., 1. o.

- (25) Mivel a juttatás a gyermekek körében elvégzett vizsgálatokért, nem pedig annak bemutatásáért jár, hogy a termék biztonságos és hatásos a gyermekeknél, a juttatást akkor is meg kell adni, ha a gyermekgyógyászati terápiás javallat engedélyezése nem történik meg. Mindazonáltal, a gyógyszereknek a gyermekpopulációban való felhasználására vonatkozó tájékoztatás javítása érdekében, a gyermekpopulációkban való felhasználás fontos információit bele kell foglalni az engedélyezett termékismertetőbe.
- (26) A ritka betegségek gyógyszereire vonatkozó, 1999. december 16-i 141/2000/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet⁹ szerint azok a gyógyszerkészítmények, amelyeket ritka betegségek elleni gyógyszerkészítményeknek minősítenek, tízévi piaci kizárólagosságot kapnak a ritka betegség elleni indikációra vonatkozó forgalomba hozatali engedély megadásakor. Mivel az ilyen termékek gyakran nem részesülnek szabadalmi oltalomban, a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány meghosszabbítása, mint juttatás, nem alkalmazható, amikor viszont szabadalmi védeltséget élveznek, a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány meghosszabbítása kettős ösztönzést jelentene. Ezért javasolt, hogy a ritka betegségek gyógyszereinek esetében a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány meghosszabbítása helyett a ritka betegségek gyógyszereinek piacán a kizárólagosságra megállapított tízévi időszakot tizenkét évre kell meghosszabbítani, amennyiben a gyermekeknél való felhasználással kapcsolatos adatszolgáltatási követelménynek teljes mértékben megfelelnek.
- (27) Az ebben a rendeletben foglalt intézkedések nem gátolhatják más ösztönzők vagy juttatások működtetését. A különböző, a Közösség és a tagállamok szintjén rendelkezésre álló intézkedések átláthatóságának biztosítására a Bizottságnak el kell készítenie egy részletes listát az összes, rendelkezésre álló ösztönzőről, a tagállamok által biztosított információk alapján. Az e rendeletben megállapított intézkedések, beleértve a gyermekgyógyászati vizsgálati terv jóváhagyását is, nem adnak alapot a kutatás támogatásának egyéb közösségi ösztönzésére, úgymint a többéves kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs közösségi keretprogram-tevékenységek kutatási projektjeinek támogatása.
- (28) A gyógyszerek gyermekeknél történő felhasználásával kapcsolatos információk hozzáférhetőségének növelésére, és a gyermekekkel végzett vizsgálatok lehetséges megisméltésének elkerülésére - ami nem járul hozzá a kollektív tudásanyaghoz - a 2001/20/EK irányelv 11. cikke által előírányzott európai adatbázisnak tartalmaznia kell az összes folyamatban lévő és befejezett gyermekgyógyászati vizsgálatot, amelyet akár a Közösségben, akár harmadik országokban folytattak le.
- (29) A gyermekek terápiás szükségleteiről leltárt kell készíteni, amelyet a Gyermekgyógyászati Bizottságnak kell – a Bizottsággal, a tagállamokkal és az érdekelt felekkel folytatott konzultáció után – elfogadnia, majd rendszeresen frissítenie. A leltárnak be kell azonosítania a meglévő, gyermekek által használt gyógyszereket és ki kell emelnie a gyermekek terápiás igényeit, valamint a kutatás-fejlesztés prioritásait. Ily módon a vállalatok képesek lesznek az üzleti fejlesztési lehetőségek könnyebb felismerésére, a Gyermekgyógyászati Bizottság jobban tudja ítélni a gyógyszerek és a vizsgálatok iránti igényt, amikor a gyermekgyógyászati vizsgálati terv tervezeteit, a mentesítéseket és a halasztásokat értékeli, az egészségügyi

⁹ HL L 18, 2000.01.22., 1. o.

szakembereknek és a pácienseknek pedig rendelkezésére állna egy olyan információs forrás, ami alátámaszthatja azt a döntésüket, hogy melyik gyógyszert válasszák.

- (30) A gyermekpopuláció körében végzett klinikai vizsgálatok sajátos szakértelmet, sajátos módszertant és – egyes esetekben – sajátos létesítményeket igényelhetnek, illetve a megfelelően képzett vizsgálóknak kell ezeket elvégezniük. Egy hálózat, amely a meglévő nemzeti és európai kezdeményezéseket és vizsgálóközpontokat egymással összeköti annak érdekében, hogy a szükséges európai szintű hatáskörök kiépüljenek, megkönnyítené az együttműködést és elkerülhető lenne a tanulmányok többszörösen történő elkészítése. E hálózatnak a kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs közösségi keretprogram tevékenységeivel összefüggésben hozzá kell járulnia az Európai Kutatási Térség alapjainak megerősítését célzó munkához, a gyermekpopuláció javát kell szolgálnia és az ipar számára erőforrásnak kell lennie.
- (31) Egyes engedélyezett termékekre a gyógyszeripari vállalatoknál lehetnek adatok a gyermekekre vonatkozó biztonságról és hatásosságról. A gyógyszereknek a gyermekpopulációkban való felhasználására vonatkozó tájékoztatás javítása érdekében, azoktól a vállalatoktól, akik birtokolnak ilyen adatokat, meg kell követelni, hogy nyújtsák be ezeket minden olyan illetékes hatósághoz, ahol a termék engedélyezése történik. Ily módon az adatok értékelhetőkké válnak és – ha szükséges – az információ belefoglalható az engedélyezett termékismertetőbe, amely az egészségügyi szakemberek és a páciensek számára készül.
- (32) Megfontolandó, hogy közösségi finanszírozású legyen a Gyermekgyógyászati Bizottság és az Ügynökség minden, a rendelet végrehajtásából adódó munkájának egésze, beleértve a gyermekgyógyászati vizsgálati terv értékelését, a tudományos tanácsadásra és tájékoztatásra tervezett díjmentességet és az átláthatóságért tett intézkedéseket, beleértve a gyermekgyógyászati vizsgálatok adatbázisát és a hálózatot.
- (33) Azokat az intézkedéseket, amelyekre ennek a rendeletnek a végrehajtásához van szükség, a Tanács 1999. június 28-i, a Bizottságra ruházott végrehajtói hatalom gyakorlásának eljárásait meghatározó 1999/468/EK rendeletével¹⁰ összhangban kell alkalmazni.
- (34) Az 1786/92/EGK tanácsi rendelet, a 2001/83/EK irányelv a 726/2004/EK rendeletet módosítani kell,

¹⁰ HL L 184, 1999.07.17., 23. o.

ELFOGADTA EZT A RENDELETET:

I. CÍM

Bevezető rendelkezések

1. Fejezet

tárgyi hatály és fogalommeghatározások

1. cikk

Ez a rendelet meghatározza az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények fejlesztésére vonatkozó szabályokat, a gyermekpopuláció sajátos terápiás igényeinek való megfelelés érdekében, anélkül, hogy gyermekeket szükségtelen kísérleteknek tennék ki, illetve összhangban a 2001/20/EK irányelvvel.

2. cikk

A 2001/83/EK irányelv 1. cikkében meghatározott fogalom-meghatározásokon kívül az alábbi fogalom-meghatározásokat kell alkalmazni ennek a rendeletnek a céljaira:

1. *gyermekpopuláció* a népességnek azt a részét jelenti, amelynek életkora a születés és 18 év között van;
2. *gyermekgyógyászati vizsgálati terv* az olyan kutatás-fejlesztési programot jelenti, amelynek gondoskodnia kell arról, hogy a szükséges adatokat létrehozzák azoknak a feltételeknek a meghatározásához, amelyek mellett a gyógyszerkészítményre engedélyezhető, hogy a gyermekpopuláció kezelésére használják.
3. *gyermekgyógyászati indikációra engedélyezett gyógyszerkészítmény*: olyan gyógyszerkészítményt jelent, amelynek felhasználása engedélyezett a gyermekpopuláció egy részében vagy egészében, amelynek részleteit az alkalmazási előirat meghatározza a 2001/83/EK irányelv 11. cikke szerint.

2. Fejezet

Gyermekgyógyászati Bizottság

3. cikk

1. Egy Gyermekgyógyászati Bizottság létesül a 726/2004/EK rendelet alapján létrejött Európai Gyógyszerügynökségen belül (a továbbiakban: az Ügynökség).

Az Ügynökség a Gyermekgyógyászati Bizottság titkárságaként működik és ellátja azt műszaki és tudományos segítséggel is.

2. Amennyiben e rendelet másképp nem rendelkezik, a Gyermekgyógyászati Bizottságra a 726/2004/EK rendelet vonatkozik.
3. Az Ügynökség ügyvezető igazgatójának kell gondoskodnia a megfelelő koordinációról a Gyermekgyógyászati Bizottság és az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottsága, a ritka betegségek elleni gyógyszere bizottsága, azok munkacsoportjai és más tudományos tanácsadói csoportok között.

Az Ügynökségnek ki kell alakítania a részletes eljárásokat a közöttük folytatandó konzultációkra.

4. cikk

1. A Gyermekgyógyászati Bizottságnak a következő tagokból kell állnia:
 - a) öt tag az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekkel foglalkozó állandó bizottságból – „a bizottság” – akiket az utóbbi nevez ki;
 - b) egy-egy személy azok által a tagállamok által kinevezve, amelyeknek illetékes hatósága nincs képviseltetve benne az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága által kinevezett tagok között;
 - c) hat személy, akiket a Bizottság nevez ki, az érdeknilvánításra vonatkozó nyilvános felhívás alapján, annak érdekében, hogy a gyermekorvosokat és a betegvédelmi egyesületek érdekeit képviseljék.

A b) pont céljaira a tagállamoknak – az Ügynökség ügyvezető igazgatójának koordinációja mellett – együtt kell működniük egymással, annak biztosítására, hogy a Gyermekgyógyászati Bizottság végleges összetétele képviselje a gyermekgyógyászati gyógyszerkészítmények számára fontos tudományos területeket, amelyek legalább a következőket tartalmazzák: gyógyszerfejlesztés, gyermekgyógyászat, gyermekgyógyszerészet, gyermekfarmakológia, gyermekgyógyászati kutatás, farmakovigilancia és etika.

2. A Gyermekgyógyászati Bizottság tagjait megújítható hároméves időszakra kell kinevezni. A Gyermekgyógyászati Bizottság üléseire a tagokat elkísérhetik szakértők.
3. A Gyermekgyógyászati Bizottság választja meg az elnököt saját tagjai közül, hároméves időszakra, amely egy alkalommal megújítható.
4. A tagok nevét és tudományos minősítéseit az Ügynökség közzéteszi.

5. cikk

1. Amikor véleményét kialakítja, a Gyermekgyógyászati Bizottság töle telhetően törekszik a tudományos konszenzus elérésére. Ha ilyen konszenzust nem sikerül elérni, a véleménynek a tagok többségének a véleményét és az eltérő álláspontokat kell tartalmaznia, azokkal az indokokkal együtt, amelyekre ezek alapulnak.

2. A Gyermekgyógyászati Bizottságnak kell meghatároznia saját eljárási szabályzatát feladatainak végrehajtásához. Az eljárási szabályzat azután lép életbe, hogy az Ügynökség Irányítótanácsa, azt követően pedig a Bizottság kedvező véleményt adott róla.
3. A Gyermekgyógyászati Bizottság összes ülésén részt vehetnek a Bizottság képviselői, az Ügynökség ügyvezető igazgatója vagy képviselői.

6. cikk

A Gyermekgyógyászati Bizottság tagjainak és szakértőinek vállalniuk kell, hogy a közérdeknek megfelelően és független módon cselekednek. Nem rendelkezhetnek pénzügyi vagy más, pártatlanságukra esetleg kihatással lévő érdekekkel a gyógyszeriparban.

Minden olyan közvetett érdeket, amely kapcsolódhat a gyógyszeriparhoz, az Ügynökség által vezetett nyilvántartásba fel kell venni, és ezt a nagyközönség megtekintheti. A nyilvántartást évente kell frissíteni.

A Gyermekgyógyászati Bizottság tagjainak és szakértőinek nyilatkozniuk kell minden ülésen azokról a konkrét érdekekről, amelyek függetlenségük számára sérelmesnek tekinthetők a napirendi pontokat illetően.

A Gyermekgyógyászati Bizottság tagjaitól és szakértőitől meg kell követelni, hogy – még azután is, hogy feladataik megszűntek – nem adhatnak tovább semmiféle olyan információt, amelyre a szakmai titoktartás vonatkozik.

7. cikk

1. A Gyermekgyógyászati Bizottság feladatainak tartalmazniuk kell a következőket:
 - a) a neki benyújtott, gyógyszerkészítményre vonatkozó, gyermekgyógyászati vizsgálati terv tartalmának értékelését, ezzel a rendelettel összhangban, és vélemény kialakítását azzal kapcsolatban;
 - b) a mentesítések és halasztások értékelését, és vélemény kialakítását azokkal kapcsolatban;
 - c) az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága, egy illetékes hatóság vagy a kérelmező kérésére a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem megfelelőségének értékelését az érintett gyermekgyógyászati vizsgálati tervvel kapcsolatban, és vélemény kialakítását arról;
 - d) a bizottság, egy illetékes hatóság vagy a kérelmező kérésére, azoknak az adatoknak az értékelését, amelyek egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv kapcsán keletkeztek, és vélemény kialakítását a gyermekpopulációban történő felhasználásra szánt gyógyszerkészítmény minőségéről, biztonságáról vagy hatásosságáról;

- e) a tanácsadást azoknak az adatoknak a tartalmát és formátumát illetően, amelyeket a 41. cikkben említett felméréshez kell gyűjteni, illetve egy leltár elkészítését a 42. cikkben említett terápiás szükségletekről;
 - f) az Ügynökség támogatását és a neki biztosított tanácsadást a 43. cikkben említett európai hálózat létrehozásával kapcsolatban;
 - g) a tudományos közreműködést az ebben a rendeletben foglalt célkitűzések teljesítésével kapcsolatos dokumentumok kidolgozásában;
 - h) a tanácsadást bármely olyan kérdésben, amely a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos, az Ügynökség ügyvezető igazgatójának vagy a Bizottságnak a felkérésére.
2. Feladatainak teljesítése során a Gyermekgyógyászati Bizottságnak mérlegelnie kell, hogy a javasolt vizsgálatoktól várható-e, hogy lényeges terápiás haszonnal járnak majd a gyermekpopuláció számára.

II. CÍM

A forgalomba hozatali engedély kiadásának feltételei

1. Fejezet

általános engedélyezési követelmények

8. cikk

1. A forgalomba hozatali engedély iránti kérelem a 2001/83/EK irányelv 6. cikke szerint, egy olyan emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmény esetében, amely ennek a rendeletnek a hatálybalépésekor nem volt engedélyezett a Közösségben, csak akkor tekinthető érvényesnek, ha tartalmazza – a 2001/83/EK irányelv 8. cikkének (3) bekezdésében említett részleteken és dokumentumokon kívül – az alábbiak valamelyikét:
- a) azoknak a vizsgálatoknak az adatait, amelyeket egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően végeztek el, illetve a részletes információkat, amelyeket ennek során gyűjtöttek;
 - b) az Ügynökség döntését arról, hogy termék-specifikus mentesítést ad meg;
 - c) az Ügynökség döntését arról, hogy gyógyszerosztálynak mentesítést ad meg;
 - d) az Ügynökség döntését arról, hogy halasztást ad meg.
- Az a) pont alkalmazásában az Ügynökségnek azt a határozatát, amellyel az érintett gyermekgyógyászati vizsgálati tervet elfogadta, szintén bele kell venni a kérelembe.
2. Az (1) bekezdés alapján benyújtott dokumentumoknak – együttesen – a gyermekpopuláció összes részeire kell vonatkozni.

9. cikk

Az engedélyezett gyermekgyógyászati esetében, amelyeket akár az 1768/92/EGK rendelet szerinti kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány, akár egy olyan szabadalom védelmez, amely alkalmasnak minősül a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány megadására, a jelen rendelet 8. cikket kell alkalmazni az új terápiás javallatok engedélyezése iránti kérelmekre, beleértve a gyermekgyógyászati indikációkat, az új gyógyszerformákat és az új alkalmazási módokat.

10. cikk

A 8. és a 9. cikket nem lehet alkalmazni a 2001/83/EK irányelv 10., 10a, 13–16. illetve 16a–16i cikkei alapján engedélyezett termékekre.

11. cikk

A tagállamokkal, az Ügynökséggel és más érdekeltekkel folytatott konzultáció alapján a Bizottságnak fel kell vázolni a formátumra és a tartalomra vonatkozó kívánalmakat, amelyeket a gyermekgyógyászati vizsgálati terv jóváhagyásával vagy módosításával kapcsolatos kérelmeknek és a mentesítésekkel vagy halasztásokkal kapcsolatos kéréseknek be kell tartaniuk ahhoz, hogy érvényesnek tekintsék azokat.

2. Fejezet mentesítések

12. cikk

1. A 8. pont (1) bekezdésének a) pontjában említett információk bemutatása alól mentességet kell adni konkrét gyógyszerkészítményekre vagy a gyógyszerkészítmények osztályaira, ha van olyan bizonyíték, amely a következők közül valamelyikre utal:
 - a) arra, hogy az a konkrét gyógyszerkészítmény vagy a gyógyszerkészítmények osztálya várhatóan hatástalan lesz, vagy nem lesz biztonságos a gyermekpopuláció egy részében vagy annak egészében;
 - b) arra, hogy az a betegség vagy állapot, amelyre a konkrét gyógyszerkészítményt vagy osztályt szánták, csak a felnőtt populációkban fordul elő;
 - c) arra, hogy a konkrét gyógyszerkészítmény nem képvisel lényeges terápiás hasznot a gyermekgyógyászati páciensek jelenlegi kezelési módjaihoz képest.
2. Az (1) bekezdésben előírt mentesítés kibocsátható oly módon, hogy a gyermekpopulációnak csak egy vagy több megadott részére vonatkozik, hogy csak egy vagy több megadott terápiás indikációra vonatkozik, vagy a fentiek kombinációjára vonatkozik.

13. cikk

A Gyermekgyógyászati Bizottság, saját kezdeményezésére elfogadhat olyan véleményt – a 12. cikk (1) bekezdésében szereplő indokok alapján – hogy a 12. cikk (1) bekezdésében említett osztály- vagy termék-specifikus mentesítést kell megadni.

Amint a Gyermekgyógyászati Bizottság elfogadott egy véleményt, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni. Egész osztályra vonatkozó mentesítés esetén csak a 26. cikk (4) bekezdését kell alkalmazni.

14. cikk

1. A kérelmező – a 12. cikk (1) bekezdésének a), b) és c) pontjában szereplő indokok alapján – kérheti az Ügynökségtől egy termék-specifikus mentesítés megadását.
2. A kérelem kézhezvételétől számított 60 napon belül, a Gyermekgyógyászati Bizottságnak véleményt kell elfogadnia arról, hogy a termék-specifikus mentesítést meg kell-e adni.

Akár a kérelmező, akár a Gyermekgyógyászati Bizottság kérhet megbeszélést ebben a 60 napos időszakban.

Amennyiben az helyénvaló, a Gyermekgyógyászati Bizottság kérheti a kérelmezőtől, hogy adjon kiegészítést a benyújtott részletekhez és dokumentumokhoz. Amikor a Gyermekgyógyászati Bizottság él ezzel a lehetőséggel, a 60 napos időkorlát felfüggesztésre kerül mindaddig, amíg a kért kiegészítő információt be nem adták.

3. Amint a Gyermekgyógyászati Bizottság elfogadott egy véleményt, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni. Az Ügynökségnek a kérelmezőt ennek megfelelően haladéktalanul tájékoztatnia kell. A kérelmezőt tájékoztatni kell azokról az okokról, amelyek alapján erre a következtetésre jutottak.

15. cikk

1. Az Ügynökségnek jegyzéket kell vezetnie az összes mentesítésekről.
2. A Gyermekgyógyászati Bizottság bármikor elfogadhat olyan véleményt, amely a megadott mentesítés felülvizsgálatát támogatja.

Abban az esetben, ha egy termék-specifikus mentességet befolyásoló változás következik be, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni.

Abban az esetben, ha osztályra vonatkozó mentességet befolyásoló változás következik be, a 26. cikk (5) bekezdését kell alkalmazni.

3. Ha egy mentesítést egy bizonyos gyógyszerkészítmény vagy a gyógyszerkészítmények egy osztálya tekintetében visszavontak, a 8. és a 9. cikkben meghatározott követelmény a mentességek jegyzékéből való törlésétől számított 36 hónapig nem alkalmazható.

3. Fejezet

Gyermekgyógyászati vizsgálati terv

1. SZAKASZ EGYETÉRTÉS IRÁNTI KÉRELMEK

16. cikk

1. Amikor az a szándék, hogy a 8. cikk (1) bekezdésének a) vagy d) pontja szerint alkalmazzák, gyermekgyógyászati vizsgálati tervet kell készíteni és az Ügynökségnek benyújtani, az egyetértés iránti kérelemmel.
2. A gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek tartalmaznia kell a gyermekpopulációban használt gyógyszerkészítmények minőségének, biztonságának és hatásosságának értékelésére javasolt időbeosztást és intézkedéseket, a gyermekpopuláció valamennyi szóba jöhető részében. Ezen kívül le kell írnia azokat az intézkedéseket, amelyek a gyógyszerkészítmény összetételének oly módon történő megváltoztatására vonatkoznak, ami elfogadhatóbbá, könnyebbé, biztonságosabbá vagy hatásosabbá teszi annak használatát a gyermekpopuláció különféle részeiben.

17. cikk

1. A 8. és a 9. cikkben említett kérelmek esetében a gyermekgyógyászati vizsgálati tervet a jóváhagyásra vonatkozó kérelemmel együtt – kivéve, ha másképp nem indokolt – legkésőbb a felnőtteken végzett, a 2001/83/EK irányelv melléklete I. részének 5.2.3. szakaszában megnevezett – humán farmakokinetikai vizsgálatok befejezését követően be kell nyújtani, annak biztosítására, hogy a véleményt ki lehessen adni a vonatkozó gyógyszerkészítménynek gyermekpopulációban történő felhasználásáról a vonatkozó forgalomba hozatali engedély vagy más kérelem értékelése során.
2. Az (1) bekezdésben említett kérelem kézhezvételétől számított 30 napon belül az Ügynökségnek ellenőriznie kell a kérelem érvényességét és összefoglaló jelentést kell készíteni a Gyermekgyógyászati Bizottság számára.
3. Amikor az helyénvaló, az Ügynökség a kérelmezőtől kérheti további részletek és dokumentumok benyújtását, amely esetben a 30 napos időkorlát felfüggesztésre kerül mindaddig, amíg a kért kiegészítő információkat meg nem adják.

18. cikk

1. Az érvényes, javasolt gyermekgyógyászati vizsgálati terv kézhezvételétől számított 60 napon belül a Gyermekgyógyászati Bizottságnak véleményt kell alkotnia arról, hogy a javasolt vizsgálatok biztosítják-e a szükséges adatok megteremtését, azoknak a feltételeknek a meghatározásához, amelyek mellett a gyógyszerkészítmény

felhasználható a gyermekpopulációban vagy annak részeiben végzett kezelésekhez, valamint arról, hogy a várható terápia hasznok igazolják-e a javasolt vizsgálatokat.

Ezen az időszakon belül akár a kérelmező, akár a Gyermekgyógyászati Bizottság kérhet megbeszélést.

2. Az (1) bekezdésben meghatározott 60 napos időszakon belül a Gyermekgyógyászati Bizottság kérheti, hogy a kérelmező javasoljon módosításokat a tervben, amely esetben az (1) bekezdésben a végleges vélemény elfogadására vonatkozó, említett időkorlát meghosszabbodik, legfeljebb 60 nappal. Az ilyen esetekben a kérelmező vagy a Gyermekgyógyászati Bizottság kérhet még egy megbeszélést ebben az időszakban. Az időkorlátot fel kell függeszteni mindaddig, amíg a kért kiegészítő információt be nem adták.

19. cikk

Amint a Gyermekgyógyászati Bizottság elfogadott egy – akár pozitív, akár negatív – véleményt, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni.

20. cikk

Amennyiben a gyermekgyógyászati vizsgálati terv mérlegelését követően a Gyermekgyógyászati Bizottság arra a következtetésre jut, hogy a 12. cikk (1) bekezdésének a), b) vagy c) pontja alkalmazandó a vonatkozó gyógyszerkészítményre, negatív véleményt kell elfogadnia, a 18. cikk (1) bekezdése szerint.

Mindazonáltal, ezekben az esetekben a Gyermekgyógyászati Bizottságnak saját kezdeményezésére a 13. cikk szerinti mentesítés vonatkozásában kedvező véleményt hoz, amely esetben a 4. szakaszban meghatározott eljárást kell alkalmazni.

2. SZAKASZ HALASZTÁSOK

21. cikk

1. A gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek a 17. cikk (1) bekezdése szerinti benyújtásával egyidejűleg kérelem adható be a tervben meghatározott néhány vagy minden intézkedés kezdeményezésének vagy elvégzésének halasztására vonatkozóan. Az ilyen halasztást tudományos és műszaki indokkal, vagy a közegészségüghöz kapcsolódó indokkal kell megindokolni.

Mindenesetre halasztást kell adni, ha helyénvaló előbb felnőtteken végezni el a vizsgálatokat, mielőtt megkezdendék a vizsgálatokat a gyermekpopulációban, vagy akkor, amikor a gyermekpopulációban végzett vizsgálatok lefolytatása hosszabb ideig tart, mint a felnőtteken végzett vizsgálatoké.

2. Az ennek a cikknek a működése során szerzett tapasztalatok alapján a Bizottság – az 51. cikk (2) bekezdésében említett eljárásnak megfelelően – elfogadhat rendelkezéseket, amelyek tovább részletezik a halasztás megadásának okait.

22. cikk

1. Azzal egyidejűleg, hogy a Gyermekgyógyászati Bizottság elfogad egy pozitív véleményt a 18. cikk (1) bekezdése értelmében – saját indíttatására, vagy a kérelmező által a 21. cikk értelmében benyújtott kérésre – a 21. cikkben meghatározott feltételek teljesülése esetén olyan véleményt kell elfogadnia, amely lehetővé teszi, hogy a gyermekgyógyászati vizsgálati terv néhány vagy összes intézkedésének kezdeményezését vagy elvégzését elhalasszák.

A halasztást támogató véleménynek meg kell határoznia az időbeli korlátokat az érintett intézkedések elkezdésére vagy befejezésére.

2. Amint a Gyermekgyógyászati Bizottság – az (1) bekezdésben említettek szerint – elfogadott egy, a halasztást támogató véleményt, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni.

3. SZAKASZ

A GYERMEKGYÓGYÁSZATI VIZSGÁLATI TERV MÓDOSÍTÁSA

23. cikk

Amennyiben a gyermekgyógyászati vizsgálati tervvel egyetértő döntés után a kérelmezőnek nehézségei támadnak annak végrehajtásával – mint például az, hogy a terv nem valósítható meg, vagy többé már nem helyénvaló – a kérelmező javasolhat változtatásokat, vagy kérhet mentesítést vagy halasztást a Gyermekgyógyászati Bizottságtól, részletes indokok alapján. A Gyermekgyógyászati Bizottságnak ezeket a változtatásokat át kell tekintenie és véleményt kell alkotnia, amely azok elutasítását vagy elfogadását tartalmazza. Amint a Gyermekgyógyászati Bizottság elfogadott egy – akár pozitív, akár negatív – véleményt, a 4. fejezetben meghatározott eljárást kell alkalmazni.

4. SZAKASZ

A GYERMEKGYÓGYÁSZATI VIZSGÁLATI TERV BETARTÁSA

24. cikk

A Gyermekgyógyászati Bizottságot felkérhetik, hogy mondjon véleményt arról, hogy a kérelmező által lefolytatott vizsgálatok megfelelnek-e az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek, a következő esetekben:

- a) a kérelmező részéről, a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem benyújtását megelőzően, vagy a 8. és a 9. cikkeken említett változtatások esetén;

- b) az Ügynökség vagy az illetékes hatóság részéről, amikor egy kérelem elbírálása folyik, ahogyan azt az a) pont említi, amelybe nem tartozik bele az a) pont szerinti kérelmet követő véleményalkotás a megfelelőséget illetően;
- c) az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottsága vagy az illetékes hatóság részéről, amikor egy kérelem értékelése során – ahogyan az a) pont említi – felmerül a kétely a megfelelőséget illetően és még nem adtak ki véleményt az a) és a b) pontok szerinti kérelem alapján.

A tagállamok figyelembe veszik ezt a véleményt.

Ha a Gyermekgyógyászati Bizottságot felkéri arra, hogy az (1) bekezdésnek megfelelően mondjon véleményt, azt a kérelem kézhezvételétől számított 60 napon belül meg kell tennie.

25. cikk

Amennyiben az érvényes kérelem tudományos értékelése során az illetékes hatóság arra a következtetésre jut, hogy a vizsgálatok nem felelnek meg az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek, a termék nem jogosult a 36. és a 37. cikkekben biztosított juttatásokra.

4. fejezet **Eljárás**

26. cikk

1. A Gyermekgyógyászati Bizottság véleményének kézhezvételétől számított 30 napon belül a kérelmező írásos kérelmet nyújthat be az Ügynökségnek, részletes indokokkal, a vélemény újbóli megvizsgálása érdekében.
2. Az újbóli megvizsgálásra irányuló, az (1) bekezdés szerinti kérelem kézhezvételétől számított 30 napon belül a Gyermekgyógyászati Bizottságnak egy új referens kinevezése után újabb véleményt kell adnia, amely megerősíti, vagy felülbírálja a korábbi véleményt. A véleményt kellően meg kell indokolni és a következtetés indokait mellékelni kell az új véleményhez, amely véglegessé válik.
3. Amennyiben az (1) bekezdésben említett 30 napos időszakon belül a kérelmező nem kér újbóli megvizsgálást, a Gyermekgyógyászati Bizottság véleménye véglegessé válik.
4. Az Ügynökségnek haladéktalanul határozatot kell hoznia. Ezt a határozatot a kérelmezővel közölni kell.
5. Abban az esetben, ha a 13. cikkben említett, egy osztályra vonatkozó mentesítésre kerül sor, az Ügynökségnek határozatot kell hoznia, amit ki kell hirdetni.

5. fejezet

Vegyes rendelkezések

27. cikk

A gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmény vonatkozásában a megbízó, a gyermekgyógyászati vizsgálati terv beadását megelőzően és annak megvalósítása során tanácsot kérhet az Ügynökségtől a különféle szükséges tesztek és vizsgálatok megtervezését és lefolytatását illetően, amelyek ahhoz szükségesek, hogy bizonyítsák a gyógyszerkészítmény minőségét, biztonságát és a gyermekpopulációban való hatásosságát, a 726/2004/EK rendelet 57. cikke (1) bekezdésének n) pontjával összhangban.

Ezenkívül a megbízó tanácsot kérhet a farmakovigilancia és a kockázatkezelési rendszere megtervezése és megvalósítása ügyében, ahogyan azt a 35. cikk említi.

Az Ügynökség a jelen cikk szerinti tanácsadást ingyenesen végzi.

III. CÍM

A forgalomba hozatali engedély eljárásai

28. cikk

Hacsak ez a cím másként nem rendelkezik, a forgalomba hozatali engedély eljárások az ebben a címben szereplő forgalomba hozatali engedélyekre a 726/2004/EK rendeletben vagy a 2001/83/EK irányelvben meghatározott előírások vonatkoznak.

1. fejezet

Forgalomba hozatali engedély eljárások a 8. és 9. cikk alkalmazási körébe tartozó kérelmeknél

29. cikk

1. A forgalomba hozatali engedély iránti kérelmek benyújthatók a 726/2004/EK rendelet 5–15. cikkeiben meghatározott eljárás szerint, ahogyan a jelen rendelet 8. cikk (1) bekezdése említi, amikor egy vagy több gyermekgyógyászati indikációt tartalmaz az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően lefolytatott vizsgálatok eredményeként.

Amikor az engedélyt megadják, ezeknek a vizsgálatoknak az eredményeit bele kell foglalni az alkalmazási előiratba, és – ha helyénvaló – a termékről szóló ismertető csomagba, akár jóváhagyták a gyermekgyógyászati indikációkat, akár nem.

2. Amikor az engedélyt megadják vagy módosítják, mindazokat az esetleges mentesítést vagy halasztást, amelyet ennek a rendeletnek az alapján kapott, bele kell foglalni az alkalmazási előiratba, és – ha helyénvaló – a termékről szóló ismertető csomagba.
3. Amennyiben a kérelem megfelel az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv valamennyi követelményének, és a termék alkalmazási előirata azt tükrözi, hogy azt az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint folytatták le, az illetékes hatóságnak a forgalomba hozatali engedélybe bele kell foglalnia egy olyan nyilatkozatot, amely a kérelemnek az egyeztetett, megvalósított gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek való megfelelésére utal.

30. cikk

A 2001/83/EK irányelv alapján engedélyezett gyógyszerkészítmények esetében a jelen rendelet 9. cikkben említett kérelem nyújtható be, a 2001/83/EK irányelv 32., 33. és 34. cikkeiben meghatározott eljárással összhangban, egy új terápiás javallat engedélyeztetésére, amely magában foglalja az engedélynek a gyermekpopuláción belüli felhasználására, egy új gyógyszerformára vagy egy új alkalmazási módra való kiterjesztését.

Ennek a kérelemnek a 8. cikk (1) bekezdésének a) pontjában foglalt követelményt kell teljesítenie.

Az eljárásnak arra kell korlátozódnia, hogy az alkalmazási előirat megváltoztatandó konkrét részeit értékelje.

2. fejezet

A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély

31. cikk

1. Ennek a rendeletnek az alkalmazásában, a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély olyan humángyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedélyt jelent, amelyet nem védelmez az 1768/92/EGK tanácsi rendelet szerinti kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány, vagy a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány megadására feljogosító szabadalom, és kizárólag a gyermekpopulációban vagy annak al csoportjaiban való felhasználásra vonatkozó terápiás javallatokat tartalmaz, beleértve az adott termékre vonatkozó megfelelő erősséget, gyógyszerformát vagy alkalmazási módot.
2. A gyermekgyógyászati forgalomba hozatali engedély iránti kérelem benyújtása semmi módon nem sérelmes a forgalomba hozatali engedélyért való folyamodás szempontjából más indikációkban.

3. A gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély iránti kérelemhez csatolni kell azokat a részletes adatokat és dokumentumokat, amelyek szükségesek a biztonság, a minőség és a hatásosság megítélésére a gyermekeknél, beleértve minden olyan konkrét adatot, amely alátámasztja a termék megfelelő erősségét, gyógyszerformáját vagy alkalmazási módját, az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően.

A kérelemnek tartalmaznia kell az Ügynökségnek azt a határozatát is, amellyel az érintett gyermekgyógyászati vizsgálati tervet elfogadta.

4. Amikor egy gyógyszerkészítmény egy tagállamban vagy a Közösségben az engedélyt most vagy korábban megkapta, az erről a termékről szóló dossziében szereplő adatokra szükség szerint hivatkozni lehet – a 726/2004/EK rendelet 14. cikkének (11) bekezdésével vagy a 2001/83/EK irányelv 10. cikkével összhangban – a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély iránti kérelemben.
5. Az a gyógyszerkészítmény, amelyre vonatkozóan a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedélyt adtak ki, megtarthatja az olyan gyógyszerkészítmény nevét, amely ugyanazt az aktív hatóanyagot tartalmazza, és amelyre vonatkozóan ugyanaz az engedélyes a felnőtteknél történő felhasználásra szóló engedélyt már megkapta.

32. cikk

A 726/2004/EK rendelet 3. cikke (2) bekezdésének sérelme nélkül, a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély iránti kérelem benyújtható a 726/2004/EK rendelet 5—15. cikkeiben meghatározott eljárás szerint.

3. fejezet beazonosítás

33. cikk

Amikor egy gyógyszerkészítmény megkapja a forgalomba hozatali engedélyt, egy olyan indikációval, amely egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően lefolytatott vizsgálatok eredményein alapul, a címkén a gyógyszer neve után egy felső indexben szerepelnie kell egy „P” betűnek, kékkel szedve, egy csillag körvonalaival körbevéve, amely szintén kék színű, bármely gyermekgyógyászati kiserelés esetében.

Az első albekezdést akkor is kell alkalmazni, ha a gyógyszerkészítmény neve kitalált név, és akkor is, ha egy szokásos név, ahogyan azt a 2001/83/EK irányelv 1. cikkének (20) és (21) bekezdése említi.

IV. CÍM

A piaci megjelentetést követő követelmények

34. cikk

Amikor gyógyszerkészítményeknek gyermekgyógyászati indikációval történő engedélyezése egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv végrehajtását követően történik és ezek a termékek, más terápiás javallatokkal már forgalomban vannak, a forgalomba hozatali engedély birtokosának a terápiás javallat engedélyezésétől számított két éven belül a terméket – a gyermekgyógyászati információ figyelembevételével – piacra kell vinnie.

35. cikk

1. A következő esetekben a kérelmezőnek részleteznie kell – a szokásos követelményeken túlmenően – a piac utólagos figyelését, azokat az intézkedéseket, amelyek a hatásosság és a lehetséges ellentétes reakciók ellenőrzését szolgálják a gyógyszerkészítmény gyermekgyógyászati felhasználása során:
 - a) a gyermekgyógyászati terápiás javallatot tartalmazó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmekben;
 - b) a meglévő forgalomba hozatali engedélyekhez gyermekgyógyászati terápiás javallat hozzáfűzése érdekében beadott kérelmekben;
 - c) a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély iránti kérelmekben,
2. Amikor van külön ok az aggodalomra, az illetékes hatóság megkövetelheti, a forgalomba hozatali engedély kiadásának feltételeként, azt, hogy kockázatkezelési rendszert hozzanak létre vagy konkrét utólagos piaci vizsgálatokat végezzenek el és nyújtsanak be véleményezés céljából. A kockázatkezelési rendszer olyan tevékenységekből és intervenciók intézkedésekből áll, amelyek célja a gyógyszerkészítményekkel kapcsolatos kockázatok elkerülése vagy minimalizálása, beleértve az ilyen intervenciók intézkedések hatékonyságát is.

Bármely kockázatkezelési rendszer hathatóságának és az elvégzett vizsgálatok eredményeinek kiértékelését bele kell venni az időszakos biztonsági frissítési jelentésekbe, amelyeket a 2001/83/EK irányelv 104. cikkének (6) bekezdése és a 726/2004/EK rendelet 24. cikkének (3) bekezdése említ.

Ezen kívül az illetékes hatóság további jelentéseket kérhet a kockázatminimalizálási rendszer hathatóságának kiértékeléséről és az esetleges elvégzett vizsgálatok eredményeiről.

3. Egy halasztás esetében a forgalomba hozatali engedély birtokosának éves jelentést kell leadnia az Ügynökségnek, amelyben beszámol a gyermekgyógyászati vizsgálatokban elért haladás fejleményeiről, az Ügynökség azon határozatával összhangban, amelyben a gyermekgyógyászati vizsgálati tervet elfogadta és a halasztást megadta.

Az Ügynökségnek tájékoztatnia kell az illetékes hatóságot, ha arra a megállapításra jut, hogy a forgalomba hozatali engedély birtokosa nem tartotta be az Ügynökségnek a gyermekgyógyászati vizsgálati tervet elfogadó és a halasztást megadó határozatát.

4. Az Ügynökségnek el kell készítenie a részletes iránymutatásokat ennek a cikknek az alkalmazásához.

V. CÍM

Juttatások és ösztönzők

36. cikk

1. Amikor a 8. és a 9. cikkek szerinti alkalmazás tartalmazza az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terveknek megfelelően elvégzett összes vizsgálat eredményeit, a szabadalom vagy a kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány birtokosának jogában áll, hogy az 1768/92/EGK rendelet 13. cikkének (1) bekezdésében és 13. cikkének (2) bekezdésében említett időszakot hat hónappal meghosszabbítsa.

Az első albekezdést kell alkalmazni akkor is, amikor az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv megvalósítása nem vezet egy gyermekgyógyászati terápiás javallat engedélyezéséhez, viszont az elvégzett vizsgálatok eredményei bekerülnek az alkalmazási előíratba és – ha szükséges – az érintett gyógyszerkészítmény termékismertető csomagjába.

2. A 29. cikk (3) bekezdésében említett nyilatkozatnak a forgalomba hozatali engedélybe történő belefoglalását a (1) bekezdés alkalmazásában kell felhasználni.
3. Amikor a 2001/83/EK irányelvben meghatározott eljárásokat használják, az (1) bekezdésben említett időszak hathónapos meghosszabbítását csak akkor lehet megadni, ha a termék valamennyi tagállamban engedélyezett.
4. Az (1), (2) és (3) bekezdések olyan termékekre vonatkoznak, amelyeket a 1768/92/EGK rendelet szerinti kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítvány vagy olyan védjegy oltalmaz, amely kiegészítő szabadalmi oltalmi tanúsítványra jogosít. Ezek a bekezdések nem alkalmazhatók az olyan gyógyszerkészítményekre, amelyek ritka betegségek elleni gyógyszerkészítményeknek minősülnek a 141/2000/EK rendelet szerint.

37. cikk

Amikor a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem benyújtása a 141/2000/EK rendelet szerint ritka betegségek elleni gyógyszerkészítménynek minősülő gyógyszerkészítményre történik, és ez a kérelem tartalmazza egy egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv szerint elvégzett összes vizsgálat adatait, és az ennek a rendeletnek a 29. cikke (3) bekezdésében említett nyilatkozatot ezt követően belefoglalják a megadott forgalomba hozatali engedélybe, a 141/2000/EK rendelet 8. cikkének (1) bekezdésében említett tízéves időszakot tizenkét évre kell növelni.

Az (1) bekezdést kell alkalmazni akkor is, amikor az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv megvalósítása nem vezet egy gyermekgyógyászati terápiás javallat engedélyezéséhez, viszont az elvégzett vizsgálatok eredményei bekerülnek az alkalmazási előiratba és – ha szükséges – az érintett gyógyszerkészítmény termékismertető csomagjába.

38. cikk

1. Amikor egy gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedélyt a 726/2004/EK rendelet 5—15. cikkeivel összhangban megadnak, az annak a rendeletnek a 14. cikke (11) bekezdésében említett adat- és piacvédelmi időszakokat kell alkalmazni.
2. Amikor egy gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedélyt a 2001/83/EK irányelvben meghatározott eljárásokkal összhangban adnak meg, az annak az irányelvnek a 10. cikke (1) bekezdésében említett adat- és piacvédelmi időszakokat kell alkalmazni.

39. cikk

1. A 36., 37. és 38. cikkeiben meghatározott juttatásokon és ösztönzőkön kívül a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények más, a Közösség vagy a tagállamok által adott ösztönzőkre is jogosultak lehetnek, a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények kutatásának és fejlesztésük, illetve elérhetőségük támogatására.
2. Ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított egy éven belül a tagállamoknak közölniük kell a Bizottsággal a részletes információkat az olyan intézkedésekről, amelyeket a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények kutatásának, és kifejlesztésének illetve elérhetőségének támogatására bevezettek. Ezt az információt rendszeresen frissíteni kell, a Bizottság kérésére.
3. Ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított 18 hónapon belül a Bizottságnak közzé kell tennie egy részletes leltárt az összes olyan intézkedésről, amelyeket a Közösség és a tagállamok a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények kutatásának, és kifejlesztésének illetve elérhetőségének támogatására biztosítanak. Ezt a leltárt rendszeresen frissíteni kell.

VI. CÍM

Kommunikáció és koordináció

40. cikk

1. Az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervekben szereplő vizsgálatok megfelelő részleteinek – beleértve azokat a vizsgálatokat is, amelyeket harmadik országokban folytatnak – bele kell kerülniük a 2001/20/EK irányelv 11. cikkével létrehozott európai adatbázisba.
2. A Bizottság – az Ügynökség javaslatára és a tagállamokkal és az érdekelt felekkel folytatott konzultáció alapján – iránymutatást készít az (1) bekezdésben említett, a 2001/20/EK irányelv 11. cikke által létrehozott európai adatbázisba bekerülő információk jellegéről.

41. cikk

A tagállamoknak össze kell gyűjteniük a rendelkezésre álló adatokat a gyógyszerkészítmények gyermekpopulációban történő összes jelenlegi felhasználásáról és – ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított 2 éven belül – ezeket az adatokat az Ügynökségnek megadják.

A Gyermekgyógyászati Bizottság iránymutatást ad a gyűjtendő adatok tartalmát és formáját illetően.

42. cikk

1. Az Ügynökség értékeli a 41. cikkben említett adatokat, különös tekintettel a kutatási prioritások meghatározására.
2. Az (1) bekezdésben említett értékelés, illetve más, rendelkezésre álló információk alapján, valamint a Bizottsággal, a tagállamokkal és az érdekelt felekkel folytatott konzultáció után a Gyermekgyógyászati Bizottságnak leltárt kell készítenie a terápiás igényekről.

Az Ügynökségnek a leltárt az ezen rendelet hatálybalépésétől számított 3 éven belül közzé kell tennie, és rendszeresen frissítenie kell azt.

3. A terápiás szükségletek leltárának létrehozása során figyelembe kell venni a gyermekpopulációban uralkodó állapotokat, a kezelendő állapotok súlyosságát, az alternatív gyógymódok elérhetőségét és alkalmazhatóságát a gyermekpopulációban meglévő állapotokra, beleértve a kezelések hatásosságát és nemkívánatos reakcióik összefoglalását, beleértve az esetleges egyedi gyermekgyógyászati biztonsági problémákat is.

43. cikk

1. Az Ügynökségnek, a Gyermekgyógyászati Bizottság tudományos támogatása mellett, ki kell fejleszteni a meglévő nemzeti és európai hálózatokból, vizsgálókból és központokból egy európai hálózatot, amely konkrét szakértelemmel rendelkezik a gyermekpopulációban végzett vizsgálatok teljesítésében.
2. Az európai hálózat célkitűzései között lenne többek között az is, hogy koordinálja a gyermekgyógyászati gyógyszerkészítmények vizsgálatait, hogy európai szinten kiépítse a tudományos és igazgatási szakismereteket, hogy elkerülhetővé váljanak a gyermekekkel végzett vizsgálatok és tesztek párhuzamosságai.
3. Ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított egy éven belül az Ügynökség irányítótanácsa – az ügyvezető igazgató javaslatára és a Bizottsággal, a tagállamokkal és az érdekelt felekkel folytatott konzultációt követően – elfogadja az európai hálózat beindításának és működtetésének megvalósítási stratégiáját. Ahol lehetséges, e hálózatnak összeegyeztethetőnek kell lennie a többéves kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs közösségi keretprogram tevékenységeivel összefüggésben az Európai Kutatási Térség alapjainak megerősítését célzó munkával.

44. cikk

1. Ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított egy éven belül a hatálybalépés napjáig már elvégzett, a Közösség területén engedélyezett termékekre vonatkozó gyermekgyógyászati vizsgálatokat kiértékelésre be kell nyújtani az illetékes hatóságnak.

Az illetékes hatóság szükség szerint frissíti az alkalmazási előíratot és a termékismertetőt, és ennek megfelelően módosítja a forgalomba hozatali engedélyt. Az illetékes hatóságok egymás között kicserélik a benyújtott vizsgálatokkal kapcsolatos információikat és azok folyamányait a vonatkozó forgalomba hozatali engedélyt illetően.

Az Ügynökségnek kell koordinálnia az információcserét.

2. Az (1) bekezdésben leírt összes gyermekgyógyászati vizsgálatot figyelembe kell vennie a Gyermekgyógyászati Bizottságnak, amikor a gyermekgyógyászati vizsgálati tervekkel, mentesítésekkel és halasztásokkal kapcsolatos kérelmeket értékeli, és az illetékes hatóságoknak, amikor a 8., 9. vagy 31. cikk értelmében benyújtott kérelmeket értékeli.
3. Azokat a gyermekgyógyászati vizsgálatokat, amelyeket az (1) bekezdés ír le, amelyek ennek a rendeletnek a hatálybalépési időpontjában már értékelésre leadtak egy harmadik országban, nem vehetők figyelembe azoknál a juttatásoknál és ösztönzőknél, amelyeket a 36., 37. és 38. cikkek biztosítanak.

45. cikk

Bármely más, forgalomba hozatali engedéllyel rendelkező megbízó vizsgálatait, amelyek egy olyan gyógyszerkészítménynek a gyermekpopulációban való felhasználására vonatkoznak, amelyre már adtak ki forgalomba hozatali engedélyt, akár egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek megfelelően folynak ezek, akár nem, be kell nyújtani az illetékes hatóságnak, a vonatkozó vizsgálatok befejezésétől számított hat hónapon belül.

Az első bekezdést kell alkalmazni, akár szándékában áll a forgalomba hozatali engedély birtokosának gyermekgyógyászati indikációért folyamodni, akár nem.

Az illetékes hatóság szükség szerint frissíti az alkalmazási előíratot és a termékismertetőt, és ennek megfelelően módosítja a forgalomba hozatali engedélyt.

Az illetékes hatóságok egymás között kicserélik a benyújtott vizsgálatokkal kapcsolatos információikat és azok folyamányait a vonatkozó forgalomba hozatali engedélyt illetően.

Az Ügynökségnek kell koordinálnia az információcserét.

VII. FEJEZET

Általános és záró rendelkezések

1. fejezet

általános

1. SZAKASZ

DÍJAK, KÖZÖSSÉGI HOZZÁJÁRULÁS, SZANKCIÓK ÉS JELENTÉSEK

46. cikk

1. Amikor a 726/2004/EK rendeletben meghatározott eljárás szerint gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalomba hozatali engedély iránti kérelmet nyújtanak be, a kérelem elbírálására és a forgalomba hozatali engedély fenntartására vonatkozó csökkentett díjat a 726/2004/EK rendelet 70. cikke szerint kell rögzíteni.
2. A 297/95/EK tanácsi rendeletet¹¹ kell alkalmazni:
3. A Gyermekgyógyászati Bizottság értékelései az alábbi esetben térítésmentesek:
 - a) mentesítés iránti kérelmek;
 - b) halasztás iránti kérelmek;

¹¹ HL L 33, 1995.02.15., 1. o.

- c) gyermekgyógyászati vizsgálati terv;
- d) az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati tervnek való megfelelés.

47. cikk

Az 726/2004/EK rendelet 67. cikkében előírt közösségi hozzájárulásnak fedeznie kell a Gyermekgyógyászati Bizottság munkájának összes aspektusát, beleértve a szakértők és az Ügynökség által biztosított tudományos támogatását, beleértve a gyermekgyógyászati vizsgálati terv értékelését, az ebben a rendeletben előírt tudományos tanácsadást és díjmentességeket, és támogatnia kell az Ügynökségnek a jelen rendelet 40. és 43. cikkek szerinti tevékenységeit.

48. cikk

1. Az Európai Közösségek jogairól és mentességeiről szóló jegyzőkönyv sérelme nélkül az egyes tagállamoknak kell megállapítaniuk az ennek a rendeletnek – vagy az ennek alapján elfogadott végrehajtási intézkedéseknek – a megsértése esetén alkalmazandó szankciókat, azoknak a gyógyszerkészítményeknek az esetében, amelyekre az engedélyeket a 2001/83/EK irányelvben meghatározott eljárásokkal adták ki, és a tagállamoknak kell megtenniük a szükséges intézkedéseket a megvalósításukra. A szankcióknak hathatósak, arányosnak és elrettentő hatásúnak kell lennie.

A tagállamoknak ezekről a rendelkezésekről a Bizottságot legkésőbb [...] értesíteniük kell. Az esetleges későbbi változásokról a lehető leghamarabb kell küldeniük értesítést.

2. A tagállamoknak haladéktalanul tájékoztatniuk kell a Bizottságot az ennek a rendeletnek a megsértése miatt keletkezett peres eljárásról.
3. Az Ügynökség kérésére a Bizottság megállapíthat pénzbüntetést ennek a rendeletnek, vagy az ennek alapján elfogadott végrehajtási intézkedéseknek a megsértéséért azoknak a gyógyszerkészítményeknek az esetében, amelyekre az engedély kiadása az 726/2004/EK rendeletben meghatározott eljárás szerint történt. Ezeknek a pénzbüntetéseknak a maximális összegét, valamint az ezeknek a büntetéseknek a beszedési feltételeit és módszereit a jelen rendelet 51. cikk (2) bekezdésében említett eljárással összhangban kell megállapítani.
4. A Bizottság nyilvánosságra hozza a forgalomba hozatali engedélyek érintett birtokosainak a nevét, valamint a kirótt pénzbüntetés összegét és annak okát.

49. cikk

1. Az Ügynökség jelentése alapján és legalább évente, a Bizottság nyilvánosságra hozza azoknak a vállalatoknak a jegyzékét, amelyek az ebben a rendeletben szereplő valamilyen juttatásban vagy ösztönzőben részesültek, és azoknak a vállalatoknak a nevét, amelyek nem tartották be az ezzel a rendelettel kapcsolatos valamely kötelességüket. Az Ügynökség részére ezt a tájékoztatást a tagállamoknak kell biztosítaniuk.

2. Ennek a rendeletnek a hatálybalépésétől számított 6 éven belül a Bizottságnak közzé kell tennie egy általános jelentést az alkalmazásának eredményeként szerzett tapasztalatokról, beleértve különösen egy leltárt mindazokról a gyógyszerkészítményekről, amelyekre a gyermekgyógyászati felhasználásra szóló engedélyt a hatálybalépése óta adták ki.

2. SZAKASZ BIZOTTSÁG

50. cikk

A Bizottság, az Ügynökséggel való konzultációt követően, megfelelő rendelkezéseket kell elfogadnia a Gyermekgyógyászati Bizottság 7. cikkben foglalt feladatainak az ellátására, az 51. cikk (2) bekezdésében említett eljárásnak megfelelően.

51. cikk

1. A Bizottságot segíti majd a 2001/83/EK irányelv 121. cikke szerint létrehozott, az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítményekkel foglalkozó állandó bizottság,
2. Amikor erre a bekezdésre hivatkozás történik, az 1999/468/EK határozat 5. és 7. cikkei alkalmazandók, annak 8. cikkének figyelembevételével.

Az 1999/468/EK határozat 5. cikkének (6) bekezdésében említett időszaknak három hónapnak kell lennie.

2. fejezet Módosítások

52. cikk

Az 1768/92/EGK rendeletet a következőképpen kell módosítani:

1. A 7. cikkbe a következő, (3) bekezdés kerül be:

„(3) Az ennek a rendeletnek a 13. cikke (3) bekezdésének és a .../... [európai parlamenti és tanácsi] rendelet (a gyermekgyógyászati rendelet*) 36. cikkének alkalmazásában már megadott igazolás időtartamának meghosszabbítása iránti kérelmet legkésőbb az igazolás lejárata előtt két évvel be kell nyújtani.”

* HL L [...]

2. A 8. cikk a következőképpen módosul:

a) Az (1) bekezdésbe bekerül a következő d) pont:

„d) amikor az igazolás iránti kérelem egy hosszabbítás iránti kérelmet tartalmaz ennek a rendeletnek a 13. cikke (3) bekezdésének és a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének alkalmazásában:

i. a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének (3) bekezdésében említett, a befejezett egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv megfeleléseiről szóló igazolás egy másolata.

ii. amennyiben szükséges, a b) pontban említett, a termék piaci forgalomba hozatalához szükséges engedélyek másolatán kívül azoknak az engedélyeknek a másolata, amelyek a terméknek az összes többi tagállam piacán történő forgalomba hozatalára szólnak, ahogyan azt a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének (4) bekezdése említi.”

b) A következő, (1a) bekezdés kerül be:

„(1a) A már megadott igazolás időtartamának meghosszabbítása iránti kérelemnek tartalmaznia kell:

a) a már megadott igazolás másolatát;

b) a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének (3) bekezdésében említett, az egyeztetett gyermekgyógyászati vizsgálati terv megfeleléseiről szóló nyilatkozat egy másolata.

c) a terméknek az összes tagállam piacán történő forgalomba hozatalára szóló engedélyek másolatai.”

c) a (2) bekezdés helyébe a következő szöveg lép:

„2. A tagállamok rendelkezhetnek úgy, hogy az igazolás iránti kérelem beadásakor és az igazolás időtartamának meghosszabbítására szóló kérelem beadásakor illetéket kell fizetni.”

3. A 9. cikk a következőképpen módosul:

a) az (1) bekezdésbe bekerül a következő albekezdés:

„A már megadott igazolás időtartamának meghosszabbítása iránti kérelmet annak a tagállamnak az illetékes iparjogvédelmi hivatalánál kell benyújtani, ahol az igazolást kiadták.”

b) a következő, (3) bekezdéssel egészül ki:

„(3) A (2) bekezdést alkalmazni kell a már megadott igazolás időtartamának meghosszabbítása iránti kérelemről szóló értesítésre. Az értesítésnek ezenfelül tartalmaznia kell az igazolás meghosszabbításának kérését, a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének alkalmazásában.”

4. A 11. cikkbe, a következő, (3) bekezdés kerül be:

„(3) Az (1) és a (2) bekezdést alkalmazni kell az arról a tényről szóló értesítésre, hogy a már megadott igazolás időtartamának meghosszabbítását megadták vagy elutasították.”

5. A 13. cikk a következő (3) bekezdéssel egészül ki:

„(3) Az (1) és a (2) bekezdésben rögzített időszakokat hat hónappal meg kell hosszabbítani a .../... gyermekgyógyászati rendelet 36. cikkének alkalmazása esetén.” Ebben az esetben a jelen rendelet (1) bekezdésben meghatározott időszak csak egyszer hosszabbítható meg.”

* HL L [...]

53. cikk

A 2001/83/EK irányelv (6) cikkében az (1) bekezdés első albekezdésének helyére a következő szöveg lép:

„Semmilyen gyógyszerkészítmény nem hozható forgalomba egyik tagállam területén sem, kivéve, ha annak a tagállamnak az illetékes hatósága, ezzel az irányelvvel összhangban, a forgalomba hozatali engedélyt kiadta vagy a 726/2004/EK rendeletnek megfelelően kapott engedélyt, amelyet a .../... (gyermekgyógyászati rendelet*) összefüggéseiben kell olvasni.”

* HL L [...]

54. cikk

A 726/2004/EK rendelet a következőképpen módosul:

(1) Az 56. cikk (1) bekezdése helyébe a következő szöveg lép:

„1. A bizottság az alábbiakból áll:

a) Az emberi felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottsága, amely felel az Ügynökség által kiadandó vélemények előkészítéséért bármely, az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek kiértékelésével kapcsolatos kérdésben;

- b) Az állatgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerkészítmények bizottsága, amely felel az Ügynökség által kiadandó vélemények előkészítéséért bármely, az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek kiértékelésével kapcsolatos kérdésben;
- c) a ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság,
- d) a gyógynövény-készítmények bizottsága,
- e) a Gyermekgyógyászati Bizottság;
- f) a titkárság, amely technikai, tudományos és adminisztratív támogatást nyújt a bizottságok részére és biztosítja a megfelelő koordinációt;
- g) az ügyvezető igazgató, aki ellátja a 64. cikkben leírt feladatokat;
- h) igazgatótanács, amely ellátja a 65., 66. és 67. cikkben leírt feladatokat.”

2. A következő 73a. cikket kell beilleszteni:

„73a. cikk

Az Ügynökség határozatai, amelyeket a [...] európai parlamenti és tanácsi rendelet (gyermekgyógyászati rendelet)*] alapján hozott, az Európai Közösségek Bírósága előtt megtámadhatók, a Szerződés 230. cikkében meghatározott feltételek szerint.

* HL L [...]”

3. szakasz

Záró rendelkezések

55. cikk

A 8. cikk (1) bekezdésben meghatározott követelmény nem alkalmazható azokra az érvényes kérelmekre, amelyek ennek a rendeletnek a hatálybalépésekor folyamatban voltak.

56. cikk

- 1. Ez a rendelet az *Európai Unió Hivatalos Lapjában* való kihirdetését követő harmincadik napon lép hatályba.
- 2. A 8. cikket [18 hónappal a hatálybalépés után] –tól kell alkalmazni.
A 9. cikket [24 hónappal a hatálybalépés után] –tól kell alkalmazni.
A 31. és a 32.. cikket [6 hónappal a hatálybalépés után] –tól kell alkalmazni.

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

Kelt Brüsszelben, [...]

az Európai Parlament részéről

Az elnök

[...]

a Tanács részéről

az elnök

[...]

LEGISLATIVE FINANCIAL STATEMENT

Policy area(s): Internal market

Activities: The activities of the European Medicines Agency are included in the following policies:

- Support for the development of paediatric medicines ;
- Improvement in the protection of public health and for consumers across the Community
- Maintaining a reliable and independent source of scientific advice and information, and
- Support and achievement of the internal market for the pharmaceutical sector.

TITLE OF ACTION: REGULATION OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL ON MEDICINAL PRODUCTS FOR PAEDIATRIC USE AND AMENDING REGULATION (EEC) No 1768/92, DIRECTIVE 2001/83/EC AND REGULATION (EC) No 726/2004

1. BUDGET LINE(S) + HEADING(S)

02.040201 – European Agency for the Evaluation of Medicinal Products — Subsidy under Titles 1 and 2

02.040202 – European Agency for the Evaluation of Medicinal Products — Subsidy under Title 3

2. OVERALL FIGURES

2.1. Total allocation for action (Part B): € million for commitment

EUR 21 282 million

2.2. Period of application:

2007 to 2012

2.3. Overall multiannual estimate of expenditure:

(a) Schedule of commitment appropriations/payment appropriations (financial intervention) (*see point 6.1.1*)

EUR million (*to three decimal places*)

	Year 2007	2008	2009	2010	2011	2012 and subs. Years	Total
Commitments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282
Payments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282

(b) Technical and administrative assistance and support expenditure (see point 6.1.2)

Commitments							
Payments							

Subtotal a+b							
Commitments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282
Payments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282

(c) Overall financial impact of human resources and other administrative expenditure (see points 7.2 and 7.3)

Commitments/ payments							
--------------------------	--	--	--	--	--	--	--

TOTAL a+b+c							
Commitments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282
Payments	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282

2.4. Compatibility with financial programming and financial perspective

[X] Proposal will entail reprogramming of the relevant heading in the financial perspective. The proposal is compatible with the new financial framework (2007-2013) proposed by the Commission (Communication from the Commission to the Council and the European Parliament COM(2004) 101).

2.5. Financial impact on revenue¹:

[X] Proposal has no financial implications (involves technical aspects regarding implementation of a measure)

3. BUDGET CHARACTERISTICS

Type of expenditure		Budget line	New	EFTA contribution	Contributions from applicant countries	Heading in financial perspective
Non-comp	Non-diff	02.040201	NO	YES	NO	1 a
Non-comp	Non-diff	02.040202	NO	YES	NO	1 a

¹ For further information, see separate explanatory note.

4. LEGAL BASIS

- Treaty establishing the European Community and notably article 235.
- Draft Regulation of the European Parliament and of the Council on medicinal products for paediatric use (to support the Agency’s work required for the operation of the draft Regulation including all work of the Paediatric Committee, scientific advice and any fee waivers provided for by virtue of the draft Regulation).
- Regulation (EC) No 726/2004 of the European parliament and of the Council of 30 May 2004, establishing the community procedures for the authorisation and follow up of medicines for human and veterinary use, and establishing the European Agency for the Evaluation of Medicinal Products (OJ L 136, 30.4.2004, p. 1).
- Council Regulation (EC) No 297/95 of 10 February 1995 modified by Council Regulation (EC) No 2743/98 of 14 December 1998 concerning fees payable to the European Agency for the Evaluation of Medicinal Products (OJ L 345, 19.12.1998, p. 3).

5. DESCRIPTION AND GROUNDS

5.1. Need for Community intervention

5.1.1. Objectives pursued

It is estimated that between 50 and 90% of medicinal products used in the paediatric population have never been specifically studied or authorised (licensed) for use in that age group. This leaves no alternative to the prescriber than to use products “off-label” (i.e. use of product authorised for adults - products that have not been tested or authorised for paediatric use) or use of completely unauthorised products with the associated risks of inefficacy and/or adverse reactions (side effects).

The overall policy objective is to improve the health of the children of Europe by increasing the research, development and authorisation of medicines for use in children.

General objectives are to:

- increase the development of medicines for use in children;
- ensure that medicines used to treat children are subject to high quality research;
- ensure that medicines used to treat children are appropriately authorised for use in children;
- improve the information available on the use of medicines in children;
- achieve these objectives without subjecting children to unnecessary clinical trials and in full compliance with the EU Clinical Trials Directive.

5.1.2. Measures taken in connection with ex ante evaluation

The draft Regulation of the European Parliament and of the Council on medicinal products for paediatric use was the subject of a Commission Extended Impact Assessment (EIA). The EIA accompanies this Financial Statement. The Commission's EIA is based on an independent, externally contracted study, specifically designed to estimate the economic, social and environmental impacts of the proposal. The EIA also draws on experience with the existing EU pharmaceutical market and regulatory framework, experience with legislation on paediatric medicines in the US, experience with orphan medicines in the EU, extensive consultation with stakeholders, and the published literature.

5.1.3. Measures taken following ex post evaluation

The draft Regulation of the European Parliament and of the Council on medicinal products for paediatric use is a new legislative proposal and no interim or ex post evaluation has been conducted.

5.2. Action envisaged and budget intervention arrangements

The key measures included in the draft paediatric regulation are:

- the establishment of an expert committee, the Paediatric Committee within the EMEA;
- a requirement at the time of marketing authorisation applications for new medicines and line-extensions for existing patent-protected medicines for data on the use of the medicine in children resulting from an agreed paediatric investigation plan;
- a system of waivers from the requirement for medicines unlikely to benefit children;
- a system of deferrals of the requirement to ensure medicines are tested in children only when it is safe to do so and to prevent the requirements delaying the authorisation of medicines for adults;
- excluding orphan medicines, a mixed reward and incentive for compliance with the requirement in the form of a six-month extension to the supplementary protection certificate (in effect, a six-month patent extension on the active moiety);
- for orphan medicines, a mixed reward and incentive for compliance with the requirement in the form of an additional two-years of market exclusivity added to the existing ten years awarded under the EU orphan regulation;
- a new type of marketing authorisation, the PUMA, which allows ten years of data protection for innovation (new studies) on off-patent products;
- amended data requirements for PUMA applications to attract SMEs including generics companies;
- a reference in the explanatory memorandum to the establishment, via separate legislation of an EU paediatric study programme to fund research leading to the development and authorisation of off-patent medicine for children;

- access to an optional centralised procedure via the community referral procedure for existing nationally authorised medicines to gain an EU-wide Commission Decision on use in children;
- measures to increase the robustness of pharmacovigilance for medicines for children;
- a requirement for industry to submit to the authorities study reports they already hold on use of their medicine in children, to maximise the utility of existing data and knowledge;
- an EU inventory of the therapeutic needs of children to focus research, development and authorisation of medicines;
- an EU network of investigators and trial centres to conduct the research and development required;
- a system of free scientific advice for the industry, provided by the EMEA;
- a database of paediatric studies (based on the existing database set up by the EU Directive on clinical trials (OJ L 121, 1.5.2001, p. 34).

Populations affected by the activity:

- more than 100 million children in the newly enlarged EU stand to benefit from better medicines for children. Children will also be enrolled into clinical trials;
- healthcare professionals will benefit through the supply of medicines specifically developed for children and may take part in clinical research on medicines for children;
- all pharmaceutical companies seeking to access the EU market will be affected by the draft Regulation;
- the EMEA and all National competent authorities will have to change their working practices as a result of the draft Regulation;

Expense type

Article 47 of the draft Regulation on medicinal products for paediatric use foresees a contribution from the Community to cover the work resulting from the draft Regulation on medicinal products for paediatric use, incorporated into the contribution provided for in Article 67 of Regulation (EC) No 726/2004 and in Article 7 of Regulation (EC) No 141/2000 to be allocated to the European Medicines Agency. This contribution should cover all aspects of the work of the European Medicines Agency to implement and operate the draft Regulation, in particular: the operation of the Paediatric Committee including assessment of paediatric investigation plans, requests for waivers and deferrals, assessment of compliance with paediatric investigation plans and assessment of the safety, quality and efficacy of medicinal products for paediatric use; an EU inventory of the therapeutic needs of children; an EU network of investigators and trial centres to conduct the research; free scientific advice for the industry; a database of paediatric studies.

The explanatory memorandum of the draft paediatric regulation makes a reference to the possible creation of a paediatric study programme: Medicines Investigation for the Children of Europe (MICE)². The creation of the funding and its operation would be included in a separate Commission initiative. A detailed assessment of the impacts of the programme will accompany that separate initiative. However, given the interface between legislation on a paediatric study programme and the draft paediatric Regulation assessed here, some consideration is required. An EU paediatric study programme, focussed on funding or part funding studies on off-patent medicines will be important if research and authorisation for children of off-patent products are to occur for the majority of products needed by children. It is envisaged that the paediatric study programme may be funded, at least in part, from the Community budget. The paediatric study programme would also need to take account of other relevant Community funding, including the 6th and 7th Framework Programmes operated by the Commission Directorate General Research. Community funding for studies into off-patent medicines for children (which may lead to the authorisation of an off-patent medicine for children) may only be partial, e.g. 50% funding: the remainder of the funding may need to come from industry, Member State governments or medical charities.

An EU paediatric study programme has the potential to stimulate research and development of off-patent medicines for children and could have a major beneficial impact on EU pharmaceutical companies, including SMEs, and a major impact on clinical trials conducted in the EU including strengthening pharmaceutical R&D in Europe.

Estimated resources and costs of the paediatric Regulation, based on the draft proposal released for consultation by the European Commission on 8 March 2004

The increased contribution will cover: increased administration costs of the European Medicines Agency relating to all tasks of the Paediatric Committee; the costs of free scientific advice and fee reductions for paediatric use marketing authorisations.

Justifications of the resources implications based on its coming into force in 2007

As of 2006, the EMEA would have to set up a task force to prepare for the work of the Paediatric Committee and the procedures as laid out in the Regulation. It is estimated that the task force would require 1 A grade full time and 1 C grade half time. This will be covered by an internal redeployment.

In 2007

Activities planned for the first year. All activities are based on the EMEA's experience of Committee activities, and in particular the experience gained in the last 3 years of activities on orphan medicinal products and the Committee for orphan medicinal products. Activities will start in full as soon as the Regulation is implemented due to the legal obligations created by it.

² The impact of the referenced paediatric study programme will critically depend on its funding, size and awarding rules. A fund, set up under the United States Best Pharmaceuticals for Children Act 2002, is of \$ 200 000 000 for fiscal year 2000 and such sums as are necessary for each of the succeeding five years for the study of the use in the paediatric population of medicinal products for which there is no patent protection or market exclusivity. The CHMP Paediatric Expert Group has produced a preliminary list of sixty-five off-patent active substances considered to be priorities for research and development for children in the EU.

A. Paediatric Committee

Functioning of the Paediatric Committee

- Meeting costs

A monthly meeting of 2-3 days is necessary. Eleven meetings a year with 31 members are envisaged, representing 682-1023 expert days. In addition, it is anticipated that additional experts will be needed on an ad-hoc basis by the Paediatric Committee.

- Meeting Management and Conference services

Eleven meetings a year of 31 members plus additional experts will have heavy implications on the Meeting Management & Conferences Sector of the EMEA which will have to organise travel and accommodation and meetings, as well as on the meeting room occupation.

- Secretariat costs

The secretariat of the Paediatric Committee represents a full time position all year round, therefore taking into consideration the need for a back-up, this represents 1.5 A grade and 1.5 C grade positions.

- Expert costs

Estimated at 5-10 experts per Paediatric Committee meeting, in addition to members of the Paediatric Committee (i.e. 55-110 experts per year).

Activities of the Paediatric Committee

- Paediatric Investigation Plans
- Deferrals
- Waiver of Paediatric Investigation Plans
- Paediatric needs
- Paediatric priorities
- Compliance
- Expert work

In the draft paediatric Regulation, there is an obligation to submit the results of studies performed according to an agreed Paediatric Investigation Plan for applications for marketing authorisations of new products (Marketing Authorisation Applications) and variations for patented products. The best estimate of the number of Paediatric Investigation Plans to be submitted per year to the Agency in the first years is about 235-285.

The activities related to the submission of Paediatric Investigation Plans are rather similar to the work done for orphan drug designation. However the level of scientific involvement to judge the submitted plan is considered higher, more complex, and the number of procedures is 2.5 times more than the current number of orphan applications.

- Agreed Paediatric Investigation Plans revisions
 - Procedures

It is not expected that applications for the revision of Paediatric Investigation Plans would occur in the first year. Only procedures would have to be established.

B. Other activities created by the Regulation

– Paediatric scientific advice

There will be an increase in scientific advice for paediatric development. It is expected that up to 60% of companies may seek advice (the current situation is about 30% for products submitted for Marketing Authorisation). This represents about three times the current number of Scientific Advice requests (currently 100 per year). See section 6.2 for details of the financial implications of fee waivers for paediatric scientific advice.

– Information publication and management

This has implications on the current development of the databases at the EMEA and on other forms of EMEA communication.

– Survey of paediatric use and inventory of research priorities

These activities will be performed by the staff in charge of other paediatric activities but will represent a significant part of the workload.

– Establishment of a paediatric research network

This is a new type of activity for the EMEA, which will require at least a full time position for an A and a C grade.

C. Impact on the Agency

In addition to involving specific staff all activities have direct implications on other sectors such as Meeting Management and Conference, IT and administration.

The activities will generate the need for regular training, workshops and will involve missions outside the Agency (for example for the establishment of a network of paediatric clinical research).

D. Need for Experts in Secondment

To strengthen the collaboration between EMEA and Member States in particular in relation to paediatric activities on national products, authorisations and pharmacovigilance, the EMEA will invite Experts in Secondment to join the Agency to facilitate the work. This will be done also at the stage of the preparatory work.

A typical stabilised year

It has been considered that year 2009 would represent a typical year, when the number of applications per year would be stable, and all activities provided for by the Regulation would be developed.

A. Paediatric Committee

Functioning of the Paediatric Committee

- Meeting costs

No major changes in activities are anticipated.

- Meeting Management and Conference services

No major changes in activities are anticipated.

- Secretariat costs

No major changes in activities are anticipated.

- Experts costs

Changes in activities may be needed. Estimates are however given for the same numbers.

Activities of the Paediatric Committee

Figures for new products (on patent) should remain stable. Variations capturing products that never included a Paediatric Investigation Plan should slightly decrease, as some products would have been captured at the stage of marketing authorisation applications. This would however not be the case of variation applications in a new indication (new therapeutic area) for which a new Paediatric Investigation Plan may have to be submitted.

There should not be any more products undergoing purely national procedures in respect of the obligation to submit a Paediatric Investigation Plan.

The 'stable' number of Paediatric Use Marketing Authorisation procedures cannot be estimated. It is judged that the initial figure of 15 per year should be kept.

Overall the level of activities should remain around 235-285 procedures per year.

The additional (fully developed) tasks will include in particular the Annual Reports on deferrals, and the revision of agreed Paediatric Investigation Plans. Once a Paediatric Investigation Plan is agreed, the draft Regulation offers the possibility to amend it as often as needed on request from the sponsor. It is estimated that 30% of the Paediatric Investigation Plans may need revision at some point in time. This may represent a minimum of 80 additional applications a year.

B. Activities created by the Regulation

– Scientific Advice

Paediatric Scientific Advice and follow up procedures would increase progressively over time.

– Pharmacovigilance and risk management

This activity will be fully developed.

– Information publication and management

Modifications or developments of the current structures will take place over several years.

– Inventory of research priorities

Regular updates are forecasted for in the Regulation.

– Establishment of a paediatric research network

The implementation and running of the network should be in place.

C. Impact on the Agency

In addition to involving specific staff all activities and their related increases have direct implications on other sectors.

5.3. Methods of implementation

The draft Regulation will be implemented and operated primarily by the existing European Medicines Agency. Certain aspects will also be operated by the National Competent Authorities. The Commission will be responsible for an implementing regulation and a number of supporting guidelines.

6. FINANCIAL IMPACT

6.1. Total financial impact on Part B - (over the entire programming period)

(The method of calculating the total amounts set out in the table below must be explained by the breakdown in Table 6.2.)

6.1.1. *Financial intervention*

Commitments (in EUR million to three decimal places)

Breakdown	2007	2008	2009	2010	2011	2012 and subs. Years	Total
02.040201 – European Agency for the Evaluation of Medicinal Products — Subsidy under Titles 1 and 2	0,800	2,397	2,688	2,881	4,280	4,409	17,455
02.040202 – European Agency for the Evaluation of Medicinal Products — Subsidy under Title 3	0,200	0,642	0,689	0,717	0,773	0,806	3,827
Action 2							
etc.							
TOTAL	1,000	3,039	3,377	3,598	5,053	5,215	21,282

6.1.2. *Technical and administrative assistance, support expenditure and IT expenditure (commitment appropriations)*

	2007	2008	2009	2010	2011	2012 and subs. Years	Total
1) Technical and administrative assistance	N.A.						
a) Technical assistance offices							
b) Other technical and administrative assistance: - intra muros: - extra muros: <i>of which for construction and maintenance of computerised management systems</i>							
Subtotal 1							
2) Support expenditure							
a) Studies							
b) Meetings of experts							
c) Information and publications							
Subtotal 2							
TOTAL							

6.2. Calculation of costs by measure envisaged in Part B (over the entire programming period)³

(Where there is more than one action, give sufficient detail of the specific measures to be taken for each one to allow the volume and costs of the outputs to be estimated.)

Commitments (in EUR million to three decimal places)

Breakdown	Type of outputs (projects, files)	Number of outputs (total for years 2007-2012)	Average unit cost	Total cost (total for years 2007-2012)
	1	2	3	4=(2X3)
<u>Paediatric medicines management</u> - Measure 1	Paediatric activities costs for the EMEA general subsidy Staff Expenditure other.			17,455 3,827
TOTAL COST				21,282

These costs are mainly due to: 1. the supplementary staff needed to perform the tasks induced by the new regulation on medicinal products for paediatric use, 2. scientific advice being given without a fee, and, 3. fee reductions for marketing authorisation applications.

Staff will be required to: provide the secretariat of the new expert committee the Paediatric Committee, administer requests for opinions from the Paediatric Committee, create and maintain an inventory of the therapeutic needs of the children of Europe, create and maintain an EU network of clinical trial centres to conduct tests of medicines for children, and, collation and publication of information about medicines for children. Projections for 2011 foresee that 24 people (14,5 A and 9,5 C) will be necessary to support the EMEA work related to the paediatric regulation. Support staff will bring the overall figure to 26.

³ For further information, see separate explanatory note.

Regarding scientific advice, currently, requests for such advice command a fee from the EMEA. This fee is used mainly to pay experts from the National agencies who conduct the scientific evaluation of the requests (with their accompanying dossiers). The draft paediatric regulation will lead to such scientific advice being given without the payment of fees. Therefore the EMEA will have to pay money to the National agencies and this will have to be covered. Furthermore, the total number of requests for scientific advice is predicted to increase dramatically as a result of the paediatric regulation. The current average fee for scientific advice is about 40 000 € and it is predicted that, For the period of six years starting in 2007, about 330 free pieces of scientific advice will be given.

Regarding fee reductions for marketing authorisation applications, the current fee is approximately 200 000 €. This pays mainly for the scientific evaluation conducted by experts from the National agencies. The fee reduction foreseen in the paediatric regulation is 50% and this will apply to a small proportion of all paediatric marketing authorisations (the so called Paediatric Use Marketing Authorisations – PUMAs). For the period of six-years starting in 2007 it is estimated that about 30 paediatric use marketing authorisation applications will be made that will attract the 50% fee reduction. Hence the EMEA will have to pay the National agencies but this will not be covered by adequate fees.

Staff requirement	2007	2008	2009	2010	2011	2012 and subs. Years
Secretariat Paediatric Committee Paediatric Investigation Plan applications	1	3	3	3	3	3
Paediatric Research Network		1	1	1	3	3
Funding of studies	1	2	2	2	4	4
Support staff			1	2	2	2
TOTAL	3	16	17	18	26	26

Expenditure costs will mostly cover the reimbursement of the experts in relation with the new committee ‘Paediatric Committee’, as well as other missions and trainings. Some IT developments will also be necessary in order to include this new category of medicinal products in the several existing databases.

Expenditure Other	2007	2008	2009	2010	2011	2012 and subs. Years
Meetings Paediatric Committee						
31 members and 5 experts 11 x 2-day meetings	0,050	0,413	0,452	0,474	0,498	0,523
Workshops, trainings and missions	0,100	0,119	0,127	0,133	0,165	0,173
IT development and web publication	0,050	0,110	0,110	0,110	0,110	0,110
TOTAL	0,200	0,642	0,689	0,717	0,773	0,806

7 IMPACT ON STAFF AND ADMINISTRATIVE EXPENDITURE

7.1. Impact on human resources

Types of post		Staff to be assigned to management of the action using existing resources		Total	Description of tasks deriving from the action
		Number of permanent posts	Number of temporary posts		
Officials or temporary staff	A	N.A.			<i>If necessary, a fuller description of the tasks may be annexed.</i>
	B				
	C				
Other human resources					
Total					

7.2. Overall financial impact of human resources

Type of human resources	Amount (€)	Method of calculation *
Officials	N.A.	
Temporary staff		
Other human resources (specify budget line)		
Total		

The amounts are total expenditure for twelve months.

7.3. Other administrative expenditure deriving from the action

Budget line (number and heading)	Amount €	Method of calculation
Overall allocation (Title A7)	N.A.	
ex A0701 – Missions		
ex A07030 – Meetings		
ex A07031 – Compulsory committees ¹		
Paediatric Committee		
A07032 – Non-compulsory committees ¹		
A07040 – Conferences		
ex A0705 – Studies and consultations		
Other expenditure (specify)		
Training		
Information systems (A-5001/A-4300)		
Other expenditure - Part A (specify)		
IT developments		
Total		

The amounts are total expenditure for twelve months.

¹ Specify the type of committee and the group to which it belongs.

- | | |
|------|-------------------------------------|
| I. | Annual total (7.2 + 7.3) in 2011 |
| II. | Duration of action |
| III. | Total cost of action (2007 to 2012) |

The needs for human and administrative resources shall be covered within the allocation granted to the managing DG in the framework of the annual allocation procedure

8. FOLLOW-UP AND EVALUATION

8.1. Follow-up arrangements

Many of the effects of the draft paediatric legislation lend themselves to measurement. Others, including the overall objective of improved child health will be more difficult to measure due to a lack of robust EU-wide data. Collection of the following data is possible.

- The dates on which the Paediatric Committee and EU network of clinical trialists are established and guidelines and first inventory of therapeutic needs are adopted.
- The date on which the database of paediatric studies becomes operational.
- The number of clinical trials in children initiated and completed (broken down by country and type of trial).
- The number of children enrolled into clinical trials.
- The number of draft paediatric investigation plans submitted for assessment and the number of paediatric investigation plans agreed by the Paediatric Committee.
- The number of requests for waivers and the number of waivers granted by the Paediatric Committee.
- The number of requests for deferrals and the number of deferrals granted by the Paediatric Committee.
- The number of requests for scientific advice.
- The numbers of marketing authorisation applications made and granted for adults and children.
- The number of PUMA applications made and PUMAs (with their associated data protection) granted.
- The number of requests for post-marketing studies, pharmacovigilance plans and risk management systems and the delivery against those plans.
- The number of existing studies in children submitted and the number of marketing authorisations updated as a result.

- The number of times marketing authorisations record that a paediatric investigation plan has been complied with. This provides a measure of the number of supplementary protection certificates that can be extended.
- Impact on the budget of the EMEA.

These data would provide a robust measure of the impact of the draft paediatric regulation in terms of stimulating research, development and authorisation of medicines for children and any collateral effect on the authorisation of medicines for other populations. They would also provide a measure of the financial impacts on the EMEA.

Prospective measurement of the costs to industry and on the price of medicines is not proposed as such measurement lends itself better to a post-hoc study.

Section 4 of the extended impact assessment points out that the impact, both financial and social, of improved health of the children of Europe is very difficult to measure. Unless there is major investment in the central collection of indices of EU child health, this difficulty will remain when attempting to measure, in the future, the impact of the draft paediatric Regulation.

8.2. Arrangements and schedule for the planned evaluation

The draft paediatric regulation includes proposals for: a database of paediatric studies; annual reports from the Member States to the Commission on problems encountered with the implementation of the draft paediatric regulation; annual publication of lists of companies that have benefits from the rewards / incentives or companies that have failed to comply with the obligations, and; within six years of entry into force, a general report on experienced acquired as a result of the application of the draft paediatric Regulation, including in particular a detailed inventory of all medicinal products authorised for paediatric use since it came into force.

Through these measures, specifically proposed in the draft paediatric Regulation, *ex post* evaluation is already planned. The general report will likely be based on the indices listed in section 8.1. Furthermore, the need for a designated independent study to support the general report should be considered. Such an independent study could include within its scope the financial and social impacts for which prospective data collection is problematic.

9. ANTI-FRAUD MEASURES

The European Medicines Agency has specific budgetary control mechanisms and procedures. The Management Board, which comprises representatives of the Member States, the Commission and the European Parliament, adopts the draft budget (Article 57.5) as well as the final budget (Article 57.6). The European Court of Auditors examines the execution of the budget each year (Article 57.9) and the Management Board gives a discharge to the Director regarding the budget (Article 57.10). In addition the Agency adopted on 1 June 1999 a decision concerning co-operation with the European Anti-Fraud Office (EMEA/D/15007/99).

The Quality Management System applied by the Agency supports a continuous review with the intention of ensuring that the correct procedures are followed and that these procedures and policies are pertinent and efficient. Several internal audits are undertaken each year as part of this process.