



**ROZPORZĄDZENIE (WE) NR 141/2000 PARLAMENTU
EUROPEJSKIEGO I RADY**

z dnia 16 grudnia 1999 r.

w sprawie sierocych produktów leczniczych

Artykuł 1

Cel

Celem niniejszego rozporządzenia jest określenie wspólnotowej procedury oznaczania produktów leczniczych jako sieroce produkty lecznicze, a także zapewnienie zachęt dla prac badawczo-rozwojowych dotyczących sierocych produktów leczniczych oraz dla wprowadzania tych produktów na rynek.

Artykuł 2

Definicje

Do celów niniejszego rozporządzenia przyjmuje się następujące definicje:

- a) „produkt leczniczy” oznacza produkt leczniczy przeznaczony do stosowania u ludzi, zgodnie z definicją podaną w art. 2 dyrektywy 65/65/EWG;
- b) „sierocy produkt leczniczy” oznacza produkt leczniczy oznaczony jako taki zgodnie z warunkami niniejszego rozporządzenia;
- c) „sponsor” oznacza osobę prawną lub fizyczną, prowadzącą działalność gospodarczą na terytorium Wspólnoty, starającą się o przyznanie oznaczenia danego produktu leczniczego jako sierocego produktu leczniczego, lub która takie oznaczenie już uzyskała;
- d) „Agencja” oznacza Europejską Agencję ds. Oceny Produktów Leczniczych.

Artykuł 3

Kryteria oznaczenia

1. Produkt leczniczy zostanie oznaczony jako sierocy produkt leczniczy, jeśli jego sponsor może wykazać:

- a) że produkt ten jest przeznaczony do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanu chorobowego zagrażającego życiu lub powodującej chroniczny ubytek zdrowia, występującej u nie więcej niż pięciu na 10 tysięcy osób we Wspólnocie w chwili gdy przedkładany jest wniosek, lub

że jest on przeznaczony do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanu chorobowego zagrażającego życiu, poważnego lub chronicznego, występującego we Wspólnocie, i że bez odpowiednich zachęt nie wydaje się możliwe, aby wprowadzanie na rynek produktu leczniczego we Wspólnocie wygenerowało wystarczający zwrot niezbędnych inwestycji;

oraz

- b) że nie istnieje zadowalająca metoda diagnozowania, zapobiegania lub leczenia danego stanu chorobowego, oficjalnie dopuszczona na terytorium Wspólnoty, lub też, jeśli taka metoda istnieje, to produkt leczniczy przyniesie znaczące korzyści pacjentom cierpiącym na ten stan chorobowy.

▼ M1

2. Komisja przyjmuje, zgodnie z procedurą regulacyjną, o której mowa w art. 10a ust. 2, przepisy niezbędne w celu wprowadzenia w życie niniejszego artykułu ust. 1 w formie rozporządzenia wykonawczego.

▼ B*Artykuł 4***Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych**

1. Niniejszym ustanowiony zostaje, w ramach Agencji, Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych, zwany dalej „Komitetem”.
2. Zadania Komitetu to:
 - a) badanie wszelkich wniosków o oznaczenie produktu leczniczego jako sierocego produktu leczniczego, które będą mu przedkładane zgodnie z niniejszym rozporządzeniem;
 - b) doradzanie Komisji w zakresie ustanowienia i opracowania polityki dotyczącej sierocych produktów leczniczych dla Unii Europejskiej;
 - c) wspieranie Komisji w zakresie kontaktów międzynarodowych dotyczących sierocych produktów leczniczych oraz w jej kontaktach z grupami wsparcia pacjentów;
 - d) wspieranie Komisji w sporządzaniu szczegółowych wytycznych.
3. Komitet składa się z przedstawicieli Państw Członkowskich, z których każde mianuje jednego członka, z trzech mianowanych przez Komisję przedstawicieli organizacji pacjentów, oraz trzech członków mianowanych przez Komisję zgodnie z zaleceniami Agencji. Członkowie Komitetu są mianowani na okres trzech lat. Ich kadencja może być odnawiana. Mogą korzystać z pomocy biegłych.
4. Komitet wybiera spośród swych członków przewodniczącego na okres trzech lat, z możliwością jednorazowego odnowienia.
5. Przedstawiciele Komisji oraz Dyrektor Zarządzający Agencji lub jego przedstawiciel mają prawo uczestniczyć we wszystkich posiedzeniach Komitetu.
6. Agencja zapewni prowadzenie sekretariatu Komitetu.
7. Członkowie Komitetu są zobowiązani, nawet po zaprzestaniu pełnienia swoich funkcji, nie ujawniać jakichkolwiek informacji zaliczanych do kategorii objętej tajemnicą zawodową.

*Artykuł 5***Procedura przyznania oznaczenia i usunięcia z rejestru**

1. Celem uzyskania oznaczenia produktu leczniczego jako sierocego produktu leczniczego, sponsor przedkłada Agencji wniosek na dowolnym etapie opracowania produktu leczniczego, zanim złożony zostanie wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.
2. Do wniosku dołączane są następujące dane szczegółowe i dokumenty:
 - a) imię i nazwisko lub nazwa handlowa oraz stały adres sponsora;
 - b) czynne składniki produktu leczniczego;
 - c) proponowane wskazanie terapeutyczne;
 - d) uzasadnienie wykazujące, że kryteria ustanowione w art. 3 ust. 1 są spełnione, oraz opis etapu opracowania, z uwzględnieniem przewidywanych wskazań.

▼ B

3. Komisja, w porozumieniu z Państwami Członkowskimi, Agencją i zainteresowanymi stronami, opracowuje szczegółowe wytyczne, co do wymaganego formatu i treści wniosków o oznaczenie.
4. Agencja przeprowadza weryfikację wniosku pod względem jego ważności i opracowuje skrócone sprawozdanie dla Komitetu. W miarę potrzeb, Agencja żąda od sponsora uzupełnienia danych i dokumentów dołączonych do wniosku.
5. Agencja zapewnia, aby Komitet wydał opinię w ciągu 90 dni od otrzymania ważnego wniosku.
6. W trakcie opracowywania swej opinii, Komitet dokłada wszelkich starań, aby osiągnąć konsensus. Jeśli osiągnięcie tego konsensu okaże się niemożliwe, opinia zostaje przyjęta większością dwóch trzecich głosów członków Komitetu. Uzyskanie opinii możliwe jest na drodze procedury pisemnej.
7. W przypadkach, gdy opinia Komitetu stanowi, że wniosek nie spełnia kryteriów określonych w art. 3 ust. 1, Agencja niezwłocznie powiadamia o tym sponsora. W ciągu 90 dni od otrzymania opinii, sponsor może przedłożyć szczegółowe uzasadnienie odwołania się, które zostanie przekazane Komitetowi przez Agencję. Komitet rozważa, czy wydana przez niego opinia powinna zostać zrewidowana na następnym z kolei zebraniu.

▼ M1

8. Agencja niezwłocznie przesyła końcową opinię komitetu do Komisji, która podejmuje decyzję w ciągu 30 dni od otrzymania opinii. W przypadkach gdy w wyjątkowych okolicznościach projekt decyzji nie jest zgodny z opinią komitetu, decyzję przyjmuje się zgodnie z procedurą regulacyjną, o której mowa w art. 10a ust. 2. Decyzja zostaje przekazana sponsorowi i podana do wiadomości Agencji oraz właściwych władz państw członkowskich.

▼ B

9. Oznaczony produkt leczniczy zostaje wpisany do Rejestru sierocych produktów leczniczych Wspólnoty.
10. Każdego roku sponsor przedkłada Agencji sprawozdanie o stanie opracowania oznaczonego produktu leczniczego.
11. Aby uzyskać przeniesienie oznaczenia sierociego produktu leczniczego na innego sponsora, właściciel oznaczenia przedkłada Agencji odpowiedni wniosek. W porozumieniu z Państwami Członkowskimi, Agencją i zainteresowanymi stronami, Komisja opracowuje szczegółowe wytyczne dotyczące formularzy takich wniosków o przeniesienie, treści takich wniosków oraz wszelkich szczegółowych danych dotyczących nowego sponsora.

▼B

12. Oznaczony sierocy produkt leczniczy zostaje usunięty z Rejestru sierocych produktów leczniczych Wspólnoty:

- a) na wniosek sponsora;
- b) jeśli zostanie ustalone przed dopuszczeniem do obrotu, że kryteria ustanowione w art. 3 nie są już spełniane w odniesieniu do danego produktu leczniczego;
- c) po upływie ustanowionego w art. 8 okresu wyłączności obrotu.

*Artykuł 6***Pomoc w kwestiach regulacyjnych**

1. Sponsor sierociego produktu leczniczego może, przed przedłożeniem wniosku o dopuszczenie do obrotu, zwrócić się do Agencji z prośbą o doradztwo w zakresie przeprowadzenia różnorodnych testów i prób niezbędnych do wykazania jakości, bezpieczeństwa i skuteczności produktu leczniczego, zgodnie z art. 51 lit. j) rozporządzenia (EWG) nr 2309/93.

2. Agencja opracowuje procedurę w zakresie rozwoju sierocych produktów leczniczych, obejmującą pomoc w kwestiach regulacyjnych w celu zdefiniowania treści wniosku o pozwolenie w rozumieniu art. 6 rozporządzenia (EWG) nr 2309/93.

*Artykuł 7***Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Wspólnoty**

1. Osoba odpowiadająca za wprowadzenie do obrotu sierociego produktu leczniczego ma prawo żądać, aby decyzja dopuszczająca wprowadzenie do obrotu produktu leczniczego została wydana przez Wspólnotę zgodnie z przepisami rozporządzenia (EWG) nr 2309/93 bez konieczności wykazania przez tę osobę, że produkt jest objęty częścią B Załącznika do tego rozporządzenia.

2. Corocznie przyznawany będzie Agencji specjalny wkład od Wspólnoty, odrębny od przewidzianego w art. 57 rozporządzenia (EWG) nr 2309/93. Wkład ten wykorzystywany będzie wyłącznie przez Agencję celem uchylecia, w całości lub w części, wszystkich opłat wnoszonych zgodnie z zasadami wspólnotowymi, przyjętych na podstawie rozporządzenia (EWG) nr 2309/93. Dyrektor Zarządzający Agencji pod koniec każdego roku przedstawi szczegółowe sprawozdanie z wykorzystania tego specjalnego wkładu. Wszystkie nadwyżki zaistniałe w danym roku będą przenoszone na następny rok i odliczane od specjalnego wkładu przewidzianego na następny rok.

3. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane dla sierociego produktu leczniczego obejmuje jedynie te wskazania terapeutyczne, które będą spełniać kryteria określone w art. 3. To nie narusza możliwości oddzielnego wnioskowania o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla innych wskazań, pozostających poza zakresem niniejszego rozporządzenia.

▼B*Artykuł 8***Wyłączność obrotu na rynku**

1. W przypadkach, gdy pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w odniesieniu do sierocego produktu leczniczego zostaje wydana zgodnie z rozporządzeniem (EWG) nr 2309/93 lub wszystkie Państwa Członkowskie wydały pozwolenia o dopuszczeniu do obrotu zgodnie z procedurami wzajemnego uznawania ustanowionymi w art. 7 i 7a dyrektywy 65/65/EWG lub art. 9 ust. 4 drugiej dyrektywy Rady 75/319/EWG z dnia 20 maja 1975 r. w sprawie zbliżenia przepisów ustawowych, wykonawczych i administracyjnych odnoszących się do leków gotowych⁽¹⁾, oraz bez naruszenia prawa własności intelektualnej lub wszelkich innych przepisów prawa wspólnotowego, Wspólnota i Państwa Członkowskie przez okres 10 lat nie przyjmą innego wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, nie wydadzą pozwolenia ►**C1** , ani nie przyjmą wniosku o rozszerzenie istniejącego pozwolenia, dla tego samego wskazania terapeutycznego, w odniesieniu do podobnego produktu leczniczego. ◀

2. Okres ten może jednakże zostać skrócony do sześciu lat, jeżeli, pod koniec piątego roku, wykazane zostanie w odniesieniu do danego produktu leczniczego, że kryteria ustanowione w art. 3 nie są już spełniane, między innymi w przypadku gdy zostanie ustalone w oparciu o dostępne dowody, że produkt jest zyskowny w takim stopniu, że utrzymywanie wyłączności na rynku nie jest uzasadnione. W tym celu, Państwo Członkowskie informuje Agencję, że kryterium, na podstawie którego wydano decyzję o wyłączności na rynku może nie być spełniane, a Agencja inicjuje procedurę przewidzianą w art. 5. Sponsor dostarczy Agencji informacje konieczne do tego celu.

3. W drodze odstępstwa od ust. 1 i bez uszczerbku dla prawa własności intelektualnej lub jakichkolwiek innych przepisów prawa wspólnotowego, dla podobnego produktu leczniczego może zostać wydane pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla tego samego wskazania terapeutycznego, jeśli:

- a) posiadacz pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla oryginalnego sierocego produktu leczniczego udzielił odpowiedniej zgody drugiemu wnioskodawcy;
- b) posiadacz pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla oryginalnego sierocego produktu leczniczego nie jest w stanie dostarczać wystarczających ilości produktu leczniczego; lub
- c) drugi wnioskodawca może ustalić we wniosku, że drugi produkt leczniczy, jakkolwiek podobny do sierocego produktu leczniczego już dopuszczonego do obrotu, jest bezpieczniejszy, skuteczniejszy lub pod innym względem przewyższa klinicznie ten pierwszy.

▼M2

4. Komisja jest uprawniona do przyjmowania, zgodnie z art. 10b, aktów delegowanych w celu uzupełnienia niniejszego rozporządzenia o definicje „podobnego produktu leczniczego” i „wyższości klinicznej”.

▼B

5. Komisja opracuje szczegółowe wytyczne w celu zastosowania niniejszego artykułu w porozumieniu z Państwami Członkowskimi, Agencją i zainteresowanymi stronami.

⁽¹⁾ Dz.U. L 147 z 9.2.1975, str. 13. Dyrektywa ostatnio zmieniona przez dyrektywę Rady 93/39/EWG (Dz.U. L 214 z 24.8.1993, str. 22).

▼ B*Artykuł 9***Inne zachęty**

1. Produkty lecznicze oznaczone jako sieroce produkty lecznicze na podstawie przepisów niniejszego rozporządzenia nadają się do zastosowania zachęt udostępnionych przez Wspólnotę oraz Państwa Członkowskie celem wspierania badań, opracowywania i udostępniania sierocych produktów leczniczych, w szczególności wspomagania prac badawczych prowadzonych w małych i średnich przedsiębiorstwach, przewidzianych w programach ramowych na rzecz badań i rozwoju technologicznego.
2. Przed dniem 22 lipca 2000 r., Państwa Członkowskie prześlą Komisji szczegółowe informacje dotyczące wszelkich działań, jakie zostały przez nie wdrożone celem wspierania badań, opracowywania i udostępniania sierocych produktów leczniczych, lub produktów leczniczych, które mogą być oznaczone jako takie. Informacje te będą systematycznie uaktualniane.
3. Przed dniem 22 stycznia 2001 r., Komisja publikuje szczegółowy wykaz wszystkich zachęt udostępnionych przez Wspólnotę i Państwa Członkowskie celem wspierania badań, opracowywania i udostępniania sierocych produktów leczniczych. Wykaz ten będzie systematycznie uaktualniany.

*Artykuł 10***Sprawozdanie ogólne**

Przed dniem 22 stycznia 2006 r., Komisja publikuje sprawozdanie ogólne o doświadczeniach nabytych w wyniku zastosowania niniejszego rozporządzenia, wraz z wyliczeniem korzyści w sferze zdrowia publicznego, jakie zostaną uzyskane.

▼ M1*Artykuł 10a*

1. Komisja jest wspierana przez Stały Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi, o którym mowa w art. 121 ust. 1 dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady 2001/83/WE z dnia 6 listopada 2001 r. w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi ⁽¹⁾.
2. W przypadku odesłania do niniejszego ustępu, stosuje się art. 5 i 7 decyzji Rady 1999/468/WE ⁽²⁾, z uwzględnieniem jej art. 8.

Termin określony w art. 5 ust. 6 decyzji 1999/468/WE wynosi trzy miesiące.

▼ M2*Artykuł 10b***Wykonywanie przekazanych uprawnień**

1. Powierzenie Komisji uprawnień do przyjmowania aktów delegowanych podlega warunkom określonym w niniejszym artykule.
2. Uprawnienia do przyjmowania aktów delegowanych, o których mowa w art. 8 ust. 4, powierza się Komisji na okres pięciu lat od dnia 26 lipca 2019 r. Komisja sporządza sprawozdanie dotyczące

⁽¹⁾ Dz.U. L 311 z 28.11.2001, s. 67.

⁽²⁾ Dz.U. L 184 z 17.7.1999, s. 23.

▼ M2

przekazania uprawnień nie później niż dziewięć miesięcy przed końcem okresu pięciu lat. Przekazanie uprawnień zostaje automatycznie przedłużone na takie same okresy, chyba że Parlament Europejski lub Rada sprzeciwią się takiemu przedłużeniu nie później niż trzy miesiące przed końcem każdego okresu.

3. Przekazanie uprawnień, o którym mowa w art. 8 ust. 4, może zostać w dowolnym momencie odwołane przez Parlament Europejski lub przez Radę. Decyzja o odwołaniu kończy przekazanie określonych w niej uprawnień. Decyzja o odwołaniu staje się skuteczna następnego dnia po jej opublikowaniu w *Dzienniku Urzędowym Unii Europejskiej* lub w późniejszym terminie określonym w tej decyzji. Nie wpływa ona na ważność już obowiązujących aktów delegowanych.

4. Przed przyjęciem aktu delegowanego Komisja konsultuje się z ekspertami wyznaczonymi przez każde państwo członkowskie zgodnie z zasadami określonymi w Porozumieniu międzyinstytucjonalnym z dnia 13 kwietnia 2016 r. w sprawie lepszego stanowienia prawa ⁽¹⁾.

5. Niezwłocznie po przyjęciu aktu delegowanego Komisja przekazuje go równocześnie Parlamentowi Europejskiemu i Radzie.

6. Akt delegowany przyjęty na podstawie art. 8 ust. 4 wchodzi w życie tylko wówczas, gdy ani Parlament Europejski, ani Rada nie wyraziły sprzeciwu w terminie dwóch miesięcy od przekazania tego aktu Parlamentowi Europejskiemu i Radzie, lub gdy, przed upływem tego terminu, zarówno Parlament Europejski, jak i Rada poinformowały Komisję, że nie wniosą sprzeciwu. Termin ten przedłuża się o dwa miesiące z inicjatywy Parlamentu Europejskiego lub Rady.

▼ B*Artykuł 11***Wejście w życie**

Niniejsze rozporządzenie wchodzi w życie z dniem jego opublikowania w *Dzienniku Urzędowym Wspólnot Europejskich*.

Niniejsze rozporządzenie stosuje się od daty przyjęcia rozporządzeń wykonawczych przewidzianych w art. 3 ust. 2 i art. 8 ust. 4.

Niniejsze rozporządzenie wiąże w całości i jest bezpośrednio stosowane we wszystkich Państwach Członkowskich.

⁽¹⁾ Dz.U. L 123 z 12.5.2016, s. 1.