

Usmernenie k aspektom uplatňovania článku 8 ods. 2 nariadenia Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000: Preskúmanie obdobia výhradného práva na trhu v prípade liekov na ojedinelé ochorenia

(2008/C 242/07)

1. ÚVOD

Nariadenie Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 zo 16. decembra 1999 o liekoch na ojedinelé ochorenia ⁽¹⁾ nadobudlo účinnosť 28. apríla 2000. Stanovuje postup Spoločenstva pre zaradovanie liekov medzi lieky na ojedinelé ochorenia a poskytuje stimuly pre výskum, vývoj a uvádzanie zaradených liekov na ojedinelé ochorenia na trh.

V súlade s článkom 3 ods. 2 a článkom 8 ods. 4 nariadenia (ES) č. 141/2000 Komisia prijala nariadenie (ES) č. 847/2000 z 27. apríla 2000, ktorým sa ustanovujú vykonávacie pravidlá ku kritériám na zaradenie lieku medzi lieky na ojedinelé ochorenia a definície pojmov „podobný liek“ a „klinická nadradenosť“ ⁽²⁾.

V júli 2003 Komisia po prvých troch rokoch uplatňovania nariadenia (ES) č. 141/2000 uverejnila oznámenie ⁽³⁾, v ktorom rozviedla všeobecné úvahy o určitých otázkach týkajúcich sa uplatňovania uvedeného nariadenia.

V súlade s článkom 10 nariadenia (ES) č. 141/2000 útvary Komisie prijali v júni 2006 všeobecnú správu o skúsenostiach získaných na základe uplatňovania nariadenia (ES) č. 141/2000 ⁽⁴⁾.

V tomto usmernení sa stanovujú všeobecné zásady a postupy, na základe ktorých sa obdobie výhradného práva na trhu v prípade liekov na ojedinelé ochorenia preskúma a môže skrátiť na šesť rokov. V prípade potreby sa toto usmernenie zaktualizuje na základe ďalších skúseností z uplatňovania článku 8 ods. 2 nariadenia (ES) č. 141/2000 ⁽⁵⁾.

2. SÚVISLOSTI A PRÁVNÝ ZÁKLAD

Zaradovanie liekov medzi lieky na ojedinelé ochorenie sa riadi článkami 3 a 5 nariadenia (ES) č. 141/2000. Kritéria pre zaradovanie sú stanovené v článku 3 ods. 1, ktorý znie:

⁽¹⁾ Ú. v. ES L 18, 22.1.2000, s. 1.

⁽²⁾ Ú. v. ES L 103, 28.4.2000, s. 5.

⁽³⁾ Ú. v. EÚ C 178, 29.7.2003, s. 2.

⁽⁴⁾ Pracovný dokument útvarov Komisie z 20. júna 2006 o skúsenostiach získaných na základe uplatňovania nariadenia (ES) č. 141/2000 o liekoch na ojedinelé ochorenia a o výpočte dosiahnutých prínosov v oblasti verejného zdravia. Dokument na základe článku 10 nariadenia (ES) č. 141/2000, SEK(2006) 832, k dispozícii na internetovej stránke: http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/orphan_en_06-2006.pdf

⁽⁵⁾ Určité zásady tohto preskúmania a možného skrátenia obdobia výhradného práva na trhu boli už uvedené v oddiele D.4 uvedeného oznámenia Komisie z roku 2003. Komisia však na základe ďalších skúseností získaných z uplatňovania nariadenia (ES) č. 141/2000 ďalej rozvinula svoj výklad článku 8 ods. 2, ako sa uvádza v tomto usmernení. V dôsledku toho má toto usmernenie prednosť pred oddielom D.4 oznámenia z roku 2003.

„Liek sa zaradí medzi lieky na ojedinelé ochorenia v prípade, ak môže sponzor preukázať:

- a) že je určený na diagnostiku, prevenciu alebo liečbu život ohrozujúceho alebo chronicky invalidizujúceho ochorenia postihujúceho v čase podania žiadosti nie viac ako päť osôb na 10 tisíc osôb v Spoločenstve (tzv. kritérium „rozšírenosti“), alebo

že je určený na diagnostiku, prevenciu alebo liečbu život ohrozujúceho, závažne invalidizujúceho alebo závažného a chronického ochorenia v Spoločenstve a že bez stimulov je nepravdepodobné, že by uvedenie lieku na trh v Spoločenstve vytvorilo **dostatočný zisk na odôvodnenie nevyhnutných investícií;**

a

- b) že neexistuje **uspokojujúci spôsob diagnostiky, prevencie alebo liečby** daného ochorenia registrovaný v Spoločenstve **alebo**, pokiaľ takýto spôsob existuje, že liek prinesie **významný úžitok** tým, ktorí sú postihnutí takýmto ochorením.“ (zvýraznené autorom).

V článku 8 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000 sa ustanovuje, že ak je registrácia vzhľadom na liek na ojedinelé ochorenie udelená vo všetkých členských štátoch, Spoločenstvo a členské štáty počas obdobia desiatich rokov ⁽⁶⁾ neprijmú inú žiadosť o registráciu ani neudelia registráciu ani neprijmú žiadosť o rozšírenie už vydananej registrácie v prípade tej istej terapeutickej indikácie vzhľadom na podobný liek.

Podľa článku 8 ods. 2 však toto obdobie môže byť skrátené na 6 rokov ⁽⁷⁾, ak sa na konci piateho roku potvrdí, že v prípade príslušného lieku už nie sú splnené kritériá pre zaradovanie ustanovené v článku 3, pokiaľ sa okrem iného na základe dostupných dôkazov preukáže, že prípravok je dostatočne výnosný, takže zachovanie výhradného práva na trhu nie je odôvodniteľné.

⁽⁶⁾ V článku 37 nariadenia Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 1901/2006 z 12. decembra 2006 o liekoch na pediatrické použitie, ktorým sa mení a dopĺňa nariadenie (EHS) č. 1768/92, smernica 2001/20/ES, smernica 2001/83/ES a nariadenie (ES) č. 726/2004 (Ú. v. EÚ L 378, 27.12.2006, s. 1), sa ustanovuje, že ak sú v prípade liekov zaradených medzi lieky na ojedinelé ochorenia splnené kritériá vymedzené v tomto nariadení, **desaťročné obdobie** uvedené v článku 8 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000 **sa predlži na dvanásť rokov** (dvojročné predĺženie ako kompenzácia za splnenie podmienok pediatrického výskumného plánu).

⁽⁷⁾ V prípade liekov, na ktoré sa vzťahuje článok 37 uvedeného nariadenia o liekoch na pediatrické použitie, bude **skrátené obdobie** v zmysle článku 8 ods. 2 nariadenia (ES) č. 141/2000 rovnako **šesť rokov**; článok 37 nariadenia o pediatrických liekoch sa vzťahuje len na obdobie uvedené v článku 8 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000.

Článok 8 ods. 5 Komisia poskytuje právny základ na vypracovanie podrobných usmernení o uplatňovaní článku 8. Toto usmernenie spĺňa časť tejto požiadavky, keďže sa týka výlučne článku 8 ods. 2.

3. VŠEOBECNÉ ZÁSADY PRESKÚMANIA PODĽA ČLÁNKU 8 ODS. 2

Preskúmacie konanie podľa článku 8 ods. 2 sa začína na základe informácií získaných od členského štátu v súvislosti s konkrétnym zaradením lieku na ojedinelé ochorenia. Nie je zámerom, aby sa konanie stanovené v článku 8 ods. 2 začínalo v prípade všetkých liekov zaradených medzi lieky na ojedinelé ochorenie. Naopak členské štáty by mali Európsku agentúru pre lieky (ďalej len „agentúra“) informovať len v tom prípade, ak majú k dispozícii dostatok dôkazov o tom, že kritériá pre zaraďovanie už nie sú splnené. V tomto prípade sú povinné tak postupovať. Preskúmacie konanie podľa článku 8 ods. 2 by preto malo byť skôr výnimkou.

Ak členský štát začne konanie, Výbor pre lieky na ojedinelé ochorenia (ďalej len „výbor“) zriadený v rámci agentúry vykoná posúdenie v súlade s postupom stanoveným v článku 5 ods. 4 až 8 nariadenia (ES) č. 141/2000. Výbor predloží stanovisko k tomu, či sa obdobie výhradného práva na trhu má zachovať alebo skrátiť. Pri posudzovaní určitého lieku budú v tom istom konaní posúdené všetky povolené terapeutické indikácie, ktoré spadajú do rozsahu toho istého zaradenia lieku medzi lieky na ojedinelé ochorenia.

Výbor v prvej fáze preskúmania výhradného práva na trhu vychádza z toho súboru kritérií, na základe ktorého bol liek podľa článku 3 toho istého nariadenia zaradený. Obdobie výhradného práva na trhu sa neskráti na šesť rokov, ak na konci piateho roka sú aj naďalej splnené kritériá pre zaraďovanie. Ak pôvodné kritériá už nie sú splnené, výbor v druhej fáze preskúma aj situáciu v súvislosti s príslušným liekom, pokiaľ ide o ostatné kritériá pre zaraďovanie podľa článku 3 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000.

Usmernenie poskytnuté v oddiele 5 by sa malo vykladať spolu s existujúcimi predpismi a usmerneniami, pokiaľ ide o faktory, ktoré by sa mali zohľadniť pri pôvodnom posudzovaní kritérií pre zaraďovanie a k tomu príslušajúcej dokumentácie, ako aj pri prehodnocovaní kritérií pre zaraďovanie pred udelením registrácie. Tieto faktory a dokumentácia sa analogicky budú vzťahovať aj na preskúmanie obdobia výhradného práva na trhu. Stanovené sú najmä v týchto dokumentoch:

- nariadenie (ES) č. 847/2000 a uvedené oznámenie Komisie z roku 2003, ktoré obsahujú rôzne pravidlá hodnotenia kritérií pre zaraďovanie, a
- usmernenie o forme a obsahu žiadostí o zaradenie lieku medzi lieky na ojedinelé ochorenia a o prenose zaradenia z jedného sponzora na druhého ⁽¹⁾, ktoré obsahuje praktické rady o tom, ako skompletizovať podklady na preukázanie splnenia kritérií pre zaraďovanie.

⁽¹⁾ K dispozícii na internetovej stránke: <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/index.htm> a je pravidelne aktualizované.

Po tom, čo jej bolo doručené stanovisko, Komisia prijme rozhodnutie v súlade s postupom stanoveným v článku 5 ods. 8 nariadenia (ES) č. 141/2000. Ak sa rozhodnutím má skrátiť obdobie výhradného práva na trhu, príslušný liek sa vymaže z registra Spoločenstva pre lieky na ojedinelé ochorenia v súlade s článkom 5 ods. 12 nariadenia (ES) č. 141/2000.

Agentúra a Komisia vo všeobecnosti hodnotia lieky koncom piateho roka od udelenia registrácie vo všetkých členských štátoch. Ak sa na základe takéhoto hodnotenia zachováva status lieku ako lieku na ojedinelé ochorenie, medzi šiestym rokom a koncom obdobia výhradného práva na trhu sa neplánuje žiadne ďalšie preskúmanie.

4. INFORMÁCIE POSKYTOVANÉ ČLENSKÝMI ŠTÁTMI

V článku 8 ods. 2 nariadenia (ES) č. 141/2000 sa ustanovuje, že členský štát informuje agentúru o tom, že je možné, že najmenej jedno kritérium pre zaraďovanie, na základe ktorého bolo udelené výhradné právo na trhu, nie je splnené.

Podľa článku 8 ods. 2 nariadenia (ES) č. 141/2000 sa obdobie výhradného práva na trhu môže skrátiť, keď sú na konci piateho roka obdobia výhradného práva na trhu k dispozícii náležité dôkazy. Aby bolo možné spracovať informácie od členských štátov v tomto časovom rámci, odporúča sa, aby členské štáty predkladali takéto informácie do konca štvrtého roka obdobia výhradného práva na trhu.

Dotknuté členské štáty by mali svoje pochybnosti odôvodniť a priložiť náležité údaje, ktorými podložia svoje tvrdenie, prečo prinajmenšom jedno z pôvodných kritérií pre zaradenie lieku medzi lieky na ojedinelé ochorenie už nie je splnené. Pri príprave týchto informácií na predloženie agentúre, môže členský štát použiť údaje, ktorými bolo podložené pôvodné zaradenie a ktoré uchováva agentúra.

5. POSÚDENIE AGENTÚROU

Po tom, čo boli agentúre doručené informácie od jedného alebo viacerých členských štátov v súlade s článkom 8 ods. 2 nariadenia (ES) č. 141/2000, agentúra o tom informuje Komisiu a držiteľa registrácie pred začatím postupu posudzovania. Držiteľ registrácie sa oboznámi s dôvodmi, ktorými členský štát podložil tvrdenie, že je možné, že najmenej jedno z kritérií pre zaraďovanie, na základe ktorých bolo udelené výhradné právo na trhu, nie je splnené. Držiteľ registrácie má následne príležitosť predložiť svoje stanoviská a príslušné údaje v písomnej forme a môže byť pozvaný na vypočutie pred výborom.

Výbor vydá na základe výsledkov posúdenia stanovisko o tom, či by sa mal zachovať status lieku ako lieku na ojedinelé ochorenie. Výbor vo svojom posúdení preskúma príslušné kritériá pre zaraďovanie na základe dôkazov, ktoré má k dispozícii, najmä dôkazov poskytnutých sponzorom a členským štátom, ktorý predložil príslušné informácie. Ak dostupné dôkazy nepostačujú na to, aby bolo možné s náležitou istotou stanoviť, či sú kritériá pre zaraďovanie aj naďalej splnené, výbor odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu nebolo skrátené.

Posúdenie sa vykoná v dvoch fázach. V **prvej fáze** (pozri bod 5.1) výbor preskúma pôvodné kritériá pre zaraďovanie. Ak sú aj naďalej splnené pôvodné kritériá pre zaraďovanie, výbor prijme stanovisko, ktorým odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu *nebolo skrátené*.

Ak pôvodné kritériá už nie sú splnené, vykoná sa **druhá fáza** (pozri bod 5.2): po tom, čo výboru boli doručené potrebné informácie od sponzora, výbor preskúma, či sú splnené *ostatné* kritériá pre zaraďovanie uvedené v článku 3 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000.

Ak sú splnené ostatné kritériá pre zaraďovanie uvedené v článku 3 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000, výbor prijme stanovisko, v ktorom odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu *nebolo skrátené*.

Ak nie sú splnené žiadne kritériá pre zaraďovanie uvedené v článku 3 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000, výbor prijme stanovisko, v ktorom *môže* odporučiť, aby obdobie výhradného práva na trhu *bolo skrátené*.

5.1. Prvá fáza

Výbor preskúma *pôvodné* kritériá pre zaraďovanie, t. j. kritérium podľa článku 3 ods. 1 písm. a) a kritérium podľa článku 3 ods. 1 písm. b) nariadenia (ES) č. 141/2000, na základe ktorých bol liek zaradený medzi lieky pre ojedinelé ochorenia.

5.1.1. Alternatívne kritériá podľa článku 3 ods. 1 písm. a) nariadenia (ES) č. 141/2000

5.1.1.1. Lieky pôvodne zaradené na základe kritéria rozšírenosti

V prípade liekov pôvodne zaradených na základe kritéria rozšírenosti podľa článku 3 ods. 1 písm. a), prvý pododsek zahŕňa agentúra do svojho posúdenia zhodnotenie rozšírenosti ojedinelého ochorenia v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

Rozšírenosť ojedinelého ochorenia v Spoločenstve sa vypočíta na základe preskúmania rovnakých štandardov, aké boli použité v čase rozhodovania o zaradení.

Od sponzora sa bude požadovať, aby predložil kritické preskúmanie možných zmien odhadovanej rozšírenosti ochorenia vrátane prerokovania vplyvu lieku na rozšírenosť ochorenia v porovnaní s prirodzeným vývojom rozšírenosti ochorenia. Odhad rozšírenosti sa v zásade môže zvyšovať v priebehu času buď preto, že rozšírenosť bola predtým podhodnotená (napr. zlepšenie odhadov vďaka zvýšenému povedomiu o ochorení) alebo preto, že rozšírenosť ochorenia skutočne vzrástla (napr. zvýšený výskyt alebo miera prežitia).

Predĺženie času prežitia pacientov, ktoré možno pripísať účinkom lieku, by nemalo slúžiť ako dôvod na skrátenie obdobia výhradného práva na trhu. Je však potrebné zohľadniť zvýšenie rozšírenosti ochorenia v dôsledku zvýšenia miery

prežitia následkom iného pokroku v manažmente ochorenia, ktorý *nesúvisí priamo* s liekom, alebo v dôsledku zvýšenia výskytu ochorenia.

5.1.1.2. Lieky pôvodne zaradené na základe kritéria nedostatočnej návratnosti investícií

V prípade liekov pôvodne zaradených na základe kritéria nedostatočnej návratnosti investícií podľa článku 3 ods. 1 písm. a) druhý pododsek agentúra použije v čase preskúmania výhradného práva na trhu rovnakú metodiku, aká bola použitá v čase rozhodovania o zaradení.

Podľa článku 3 ods. 1 písm. a) sa v čase zaraďovania overuje, či ide o prípad, že „*bez stimulov* je *nepravdepodobné*, že by uvedenie lieku na trh v Spoločenstve vytvorilo *dostatočný zisk* na odôvodnenie nevyhnutných investícií“ (zvýraznené autorom). Kritérium sa preto zakladá na prognóze, že je nepravdepodobné, že by očakávané prínosy odôvodnili požadované investície. Kritérium je splnené, ak sa zdá nepravdepodobné, že by sponzor bol pripravený investovať, keďže očakávané prínosy by neboli dostatočné na vyváženie jeho rizika.

V rámci príslušného overenia vykonávaného na účely preskúmania výhradného obdobia na trhu by sa použili rovnaké zásady. Kritérium by preto bolo aj naďalej splnené, ak by bez stimulov predaj lieku na trhu Spoločenstva nepriniesol *dostatočnú* návratnosť investícií, ktorou by sa vyvážili riziká, na ktoré sa podujal alebo ešte len podujme sponzor. Ak po odpočítaní finančných výnosov získaných vďaka stimulom podľa nariadenia, nie je návratnosť investícií dostatočná, obdobie výhradného práva na trhu nebude skrátené.

5.1.2. Alternatívne kritériá podľa článku 3 ods. 1 písm. b) nariadenia (ES) č. 141/2000

Pri kritériách podľa článku 3 ods. 1 písm. b) – neexistencia uspokojujúceho spôsobu *alebo* významného úžitku – agentúra zohľadní všetky zmeny, ktoré majú vplyv na liečbu, prevenciu alebo diagnostiku u pacientov s ojedinelým ochorením, ku ktorým došlo odo dňa udelenia registrácie.

Od sponzora možno požadovať, aby predložil kritické posúdenie jeho lieku v čase preskúmania výhradného práva na trhu. Kritické preskúmanie bude obsahovať všetky dostupné údaje, napríklad:

- výsledky všetkých vykonaných komparatívnych štúdií,
- komplexný a vyvážený bibliografický prehľad,
- marketingové štúdie, alebo
- prieskumy u pacientov.

Od sponzorov sa však nebude požadovať, aby získali nové komparatívne údaje vo vzťahu k inej liečbe/liečebnému postupu, ktorý sa stal dostupným od času, kedy bola udelená registrácia pre liek na ojedinelé ochorenie.

5.1.2.1. Lieky pôvodne zaradené na základe kritéria neexistencie uspokojivého spôsobu

V prípade liekov pôvodne zaradených na základe kritéria neexistencie uspokojivého spôsobu (článok 3 ods. 1 písm. b) prvá časť) sa od sponzorov môže okrem iných informácií požadovať kritické preskúmanie významu lieku v terapeutickom, diagnostickom alebo profylaktickom manažmente pacientov v rámci povolenej terapeutickej indikácie v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

5.1.2.2. Lieky pôvodne zaradené na základe kritéria významného úžitku

V prípade liekov pôvodne zaradených na základe kritéria významného úžitku (článok 3 ods. 1 písm. b) druhá časť) sa od sponzorov môže okrem iných informácií požadovať kritické preskúmanie pretrvávajúceho významného úžitku lieku na ojedinelé ochorenie v porovnaní s liečebnými, diagnostickými alebo profylaktickými postupmi v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

5.1.3. Stanovisko výboru

Ak výbor dospeje k záveru, že pôvodné kritériá pre zaraďovanie sú aj naďalej splnené, odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu *nebolo skrátené*.

5.2. Druhá fáza

Ak je výbor toho názoru, že pôvodné kritériá pre zaraďovanie už nie sú splnené, dá sponzorovi príležitosť preukázať, že výhradné právo na trhu môže byť zachované na základe *ostatných* kritérií podľa článku 3 ods. 1 nariadenia (ES) č. 141/2000. Od sponzora sa bude požadovať, aby agentúre poskytol informácie nevyhnutné na tento účel.

5.2.1. Alternatívne kritériá podľa článku 3 ods. 1 písm. a) nariadenia (ES) č. 141/2000

Ak pôvodné zaradenia bolo založené na kritériu rozšírenosti a dospeje sa k záveru, že toto kritérium už nie je splnené, výbor posúdi návratnosť investícií lieku v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

Na druhej strane, ak bolo pôvodné zaradenie založené na kritériu návratnosti investícií a dospeje sa k záveru, že toto kritérium už nie je splnené, výbor posúdi rozšírenosť lieku v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

5.2.2. Alternatívne kritériá podľa článku 3 ods. 1 písm. b) nariadenia (ES) č. 141/2000

Ak pôvodné zaradenie bolo založené na kritériu neexistencie uspokojivého spôsobu a dospeje sa k záveru, že toto kritérium už nie je splnené, výbor posúdi významný úžitok lieku v čase preskúmania výhradného práva na trhu.

Na druhej strane ak bolo pôvodné označenie založené na kritériu významného úžitku a dospeje sa k záveru, že toto kritérium už nie je splnené, obvykle nie je k dispozícii žiadne alternatívne overenie. Výbor by však vo výnimočných prípadoch mohol posúdiť neexistenciu uspokojivého spôsobu v čase preskúmania výhradného práva na trhu. Mohlo by sa tak stať napríklad v prípade, ak medzičasom zanikol spôsob, ktorý sa používal v čase rozhodovania o zaradení.

5.2.3. Stanovisko výboru

Ak sa na základe posúdenia výboru v druhej fáze preukázalo, že sú splnené alternatívne kritériá pre zaraďovanie uvedené v článku 3 ods. 1 písm. a) a b), výbor *prijme* stanovisko, v ktorom odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu *nebolo skrátené*.

Ak sa na základe posúdenia výboru v oboch fázach preukázalo, že nie sú splnené ani pôvodné ani alternatívne kritériá pre zaraďovanie uvedené v článku 3 ods. 1 písm. a) a b), výbor *môže* prijať stanovisko, v ktorom odporučí, aby obdobie výhradného práva na trhu *bolo skrátené*. O tom, či sa odporučí alebo neodporučí skrátenie obdobia výhradného práva na trhu, výbor rozhoduje na základe relevantných kritérií, medzi ktoré môže patriť aj rozsah, v akom nie je splnené kritérium pre zaraďovanie. Okrem toho výbor by mal nedostatočnú ziskovosť zvážiť ako tvrdenie proti skráteniu obdobia výhradného práva na trhu.

6. ROZHODNUTIE EURÓPSKEJ KOMISIE

Komisia prijme rozhodnutie o tom, či sa má obdobie výhradného práva na trhu zachovať alebo skrátiť na základe stanoviska výboru. Podľa článku 5 ods. 8 nariadenia (ES) č. 141/2000 sa toto rozhodnutie prijme do 30 dní od doručenia stanoviska Komisii.

V súlade s článkom 5 ods. 8 nariadenia (ES) č. 141/2000 Komisia môže vo výnimočných prípadoch prijať rozhodnutie, ktoré nie je v súlade so stanoviskom výboru. Komisia pri vykonávaní tohto diskrečného práva zohľadní osobitné okolnosti v súvislosti s príslušným liekom vzhľadom na kľúčové ciele nariadenia, napr. zlepšenie dostupnosti liekov na ojedinelé ochorenia a zabezpečenie primeraných a účinných stimulov pre výskum a rozvoj v tomto odvetví.