



**NARIADENIE EURÓPSKEHO PARLAMENTU A RADY (ES)
č. 141/2000**

zo 16. decembra 1999

o liekoch na ojedinelé ochorenia

EURÓPSKY PARLAMENT A RADA EURÓPSKEJ ÚNIE,

so zreteľom na Zmluvu o založení Európskeho spoločenstva, najmä na jej článok 95,

so zreteľom na návrh Komisie ⁽¹⁾,

so zreteľom na stanovisko Hospodárskeho a sociálneho výboru ⁽²⁾,

konajúc v súlade s postupom ustanoveným v článku 251 zmluvy ⁽³⁾,

keďže:

- (1) Niektoré ochorenia sa vyskytujú tak ojedinele, že by náklady na vývoj a uvedenie lieku určeného na diagnostiku, na prevenciu alebo na liečbu ochorenia na trh neboli pokryté očakávaným predajom lieku; farmaceutický priemysel by za normálnych trhových podmienok nebol ochotný vyvinúť liek; takéto lieky sa nazývajú „lieky na ojedinelé ochorenia“.
- (2) Pacienti trpiaci zriedkavými ochoreniami by mali mať právo na rovnakú kvalitu liečby ako ostatní pacienti; je preto nevyhnutné podporovať farmaceutický priemysel vo výskume, vývoji a uvádzaní príslušných liekov na trh; stimuly vývoja liekov na ojedinelé ochorenia existujú v Spojených štátoch amerických od roku 1983 a v Japonsku od roku 1993.
- (3) V Európskej únii boli dosiaľ prijaté len obmedzené opatrenia, či už na vnútroštátnej úrovni alebo na úrovni spoločenstva, na podporu vývoja liekov na ojedinelé ochorenia; takéto opatrenia je najlepšie prijať na úrovni spoločenstva, aby sa využili najširší možný trh a aby sa zamedzilo rozptýleniu obmedzených zdrojov; opatrenia na úrovni spoločenstva sú výhodnejšie ako nekoordinované opatrenia členských štátov, ktoré by mohli viesť k narušeniu hospodárskej súťaže a prekážkam obchodu vo vnútri spoločenstva.
- (4) Lieky na ojedinelé ochorenia, ktoré prichádzajú do úvahy na využívanie stimulov, by mali byť ľahko a jasne definované; za najvhodnejšie sa na dosiahnutie tohto výsledku javí vytvorenie otvoreného a transparentného postupu spoločenstva pre zaradenie potenciálnych liekov medzi lieky na ojedinelé ochorenia.
- (5) Mali by byť vytvorené objektívne kritériá pre zaradovanie; tieto kritériá by mali byť založené na rozšírení ochorenia, pri ktorom je požadovaná diagnostika, prevencia alebo liečba; rozšírenie nepresahujúce viac ako päť infikovaných osôb na 10 tisíc osôb je všeobecne považované za vhodnú hraničnú hodnotu; lieky určené na život ohrozujúce, závažne invalidizujúce alebo závažné a chronické ochorenia by mali prichádzať do úvahy aj vtedy, keď je rozšírenie vyššie ako päť z 10 tisíc.

⁽¹⁾ Ú. v. ES C 276, 4.9.1998, s. 7.

⁽²⁾ Ú. v. ES C 101, 12.4.1999, s. 37.

⁽³⁾ Stanovisko Európskeho parlamentu z 9. marca 1999 (Ú. v. ES C 175, 21.6.1999, s. 61), spoločná pozícia Rady z 27. septembra 1999 (Ú. v. ES C 317, 4.11.1999, s. 34) a rozhodnutie Európskeho parlamentu z 15. decembra 1999 (zatiaľ neuverejnené v úradnom vestníku).

▼B

- (6) Mal by byť zriadený výbor zložený z odborníkov vymenovaných členskými štátmi na posudzovanie žiadostí o zaradenie; v tomto výbore by mali byť aj traja zástupcovia asociácie pacientov vymenovaní Komisiou a tri ďalšie osoby, tiež vymenované Komisiou na základe odporúčenia Európskej agentúry na hodnotenie liekov (ďalej len „agentúra“); agentúra by mala byť zodpovedná za primeranú koordináciu medzi Výborom pre lieky na ojedinelé ochorenia a Výborom pre hromadne vyrábané lieky.
- (7) Pacienti s takýmito ochoreniami si zaslúžia rovnakú kvalitu, bezpečnosť a účinnosť liekov ako ostatní pacienti; lieky na ojedinelé ochorenia by mali byť preto predložené k normálnemu procesu hodnotenia; sponzori liekov na ojedinelé ochorenia by mali mať možnosť získať registráciu spoločenstva; s cieľom uľahčenia udelenia alebo udržiavania registrácie spoločenstva by mali byť aspoň z časti odpustené poplatky, ktoré sa platia agentúre; takto vzniknutá strata z príjmov by mala byť agentúre kompenzovaná z rozpočtu spoločenstva.
- (8) Skúsenosť v Spojených štátoch amerických a Japonsku ukazuje, že najsilnejšie stimuly pre priemysel, aby investoval do vývoja a uvádzania liekov na ojedinelé ochorenia na trh, je existencia vyhladky na získanie výhradného práva na trhu na určitý počet rokov, počas ktorých môže byť časť investícií nahradená; ochrana údajov podľa článku 4 ods. 8 písm. a) bod iii) smernice Rady 65/65/EHS z 26. januára 1965 o aproximácii zákonov, iných právnych predpisov a správnych opatrení vzťahujúcich sa na lieky ⁽¹⁾ nie je na tento účel postačujúcou pohnútkou; členské štáty konajúce nezávisle nemôžu zaviesť takéto opatrenia mimo úrovne spoločenstva, pretože takéto ustanovenie by odporovalo smernici 65/65/EHS; pokiaľ by boli takéto opatrenia prijaté členskými štátmi nekoordinovaným spôsobom, vytvorilo by to prekážky vnútornému obchodu spoločenstva vedúce k narušeniu hospodárskej súťaže a pôsobeniu proti jednotnému trhu; výhradné právo na trhu by však malo byť obmedzené na terapeutickú indikáciu, pre ktorú bol liek zaradený medzi lieky na ojedinelé ochorenia, bez toho aby boli dotknuté existujúce práva duševného vlastníctva; v záujme pacientov by výhradné právo na trhu udelené lieku na ojedinelé ochorenia nemalo brániť uvedeniu podobného lieku na trh, ktorý by mohol priniesť významný úžitok tým, ktorí sú postihnutí ochorením.
- (9) Sponzori liekov na ojedinelé ochorenia zaradených podľa tohto nariadenia by mali byť oprávnení plne využívať akékoľvek stimuly udelené spoločenstvom alebo členskými štátmi na podporu výskumu a vývoja liekov na diagnostiku, prevenciu alebo liečbu takýchto ochorení, vrátane zriedkavých chorôb.
- (10) Osobitý program Biomed 2 štvrtého rámcového programu pre výskum a technologický vývoj (1994 až 1998) podporil výskum liečby zriedkavých chorôb, vrátane metodiky na rýchle schémy pre vývoj liekov na ojedinelé ochorenia a súpisu liekov na ojedinelé ochorenia dostupných v Európe; uvedené granty boli určené na podporu vytvorenia medzinárodnej spolupráce s cieľom vykonávania základného a klinického výskumu zriedkavých chorôb; výskum zriedkavých chorôb zostáva naďalej prioritou spoločenstva, pretože bol zaradený do piateho rámcového programu pre výskum a technologický vývoj (1998 až 2002); toto nariadenie vytvára právny rámec, ktorý umožní rýchlu a účinnú realizáciu výsledkov tohto výskumu.
- (11) Zriedkavé choroby boli určené ako prioritná oblasť pre opatrenia spoločenstva v rámci opatrení v oblasti ochrany verejného zdravia; Komisia vo svojom oznámení týkajúcom sa programu

(1) Ú. v. ES 22, 9.2.1965, s. 369. Smernica naposledy zmenená a doplnená smernicou 93/39/EHS (Ú. v. ES L 214, 24.8.1993, s. 22).

▼B

opatrení spoločenstva pre zriedkavé choroby v rámci opatrení v oblasti verejného zdravia rozhodla, že dá zriedkavým ochoreniam prioritu v rámci ochrany verejného zdravia; Európsky parlament a Rada prijali rozhodnutie č. 1295/1999/ES z 29. apríla 1999, ktorým sa prijíma program spoločenstva pre zriedkavé choroby v rámci opatrení v oblasti ochrany verejného zdravia (1999 až 2003) (1), vrátane opatrení o poskytovaní informácií, o zvládaní skupín zriedkavých chorôb v populácii a o podpore príslušných organizácií pacientov; toto nariadenie uplatňuje jednu z priorit ustanovenú v tomto programe opatrení,

PRIJALI TOTO NARIADENIE:

*Článok 1***Účel**

Účelom tohto nariadenia je stanoviť postup spoločenstva pre zaradovanie liekov medzi lieky na ojedinelé ochorenia a poskytnúť stimuly pre výskum, vývoj a uvádzanie zaradených liekov na ojedinelé ochorenia na trh.

*Článok 2***Definície**

Na účely tohto nariadenia sa pod výrazom:

- a) „liek“ rozumie humánný liek tak, ako je ustanovený v článku 2 smernice 65/65/EHS;
- b) „liek na ojedinelé ochorenia“ rozumie liek ustanovený ako taký podľa podmienok tohto nariadenia;
- c) „sponzor“ rozumie akákoľvek právnická alebo fyzická osoba usadená v spoločenstve, ktorá žiada o zaradenie alebo ktorej už bol zaradený liek medzi lieky na ojedinelé ochorenia;
- d) „agentúra“ rozumie Európska agentúra na hodnotenie liekov.

*Článok 3***Kritériá pre zaradovanie**

1. Liek sa zaradi 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, 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.

(1) Ú. v. ES L 155, 22.6.1999, s. 1.

▼M1

2. Komisia v súlade s regulačným postupom uvedeným v článku 10a ods. 2 prijme nevyhnutné ustanovenia na vykonanie odseku 1 tohto článku vo forme vykonávacieho nariadenia.

▼B*Článok 4***Výbor pre lieky na ojedinelé ochorenia**

1. V rámci agentúry sa zriaďuje Výbor pre lieky na ojedinelé ochorenia (ďalej len „výbor“).
2. Úlohou výboru je:
 - a) preskúmať každú žiadosť o zaradenie lieku medzi lieky na ojedinelé ochorenia, ktorá mu je predložená v súlade s týmto nariadením;
 - b) radíť Komisii pri vytváraní a vývoji politiky Európskej únie pre lieky na ojedinelé ochorenia;
 - c) pomáhať Komisii pri medzinárodných rokovaníach v záležitostiach týkajúcich sa liekov na ojedinelé ochorenia a pri rokovaníach so skupinami podporujúcimi pacientov;
 - d) pomáhať Komisii pri vypracovávaní podrobných usmernení.
3. Výbor sa skladá z jedného člena vymenovaného každým členským štátom, z troch členov vymenovaných Komisiou, aby zastupovali organizácie pacientov, a z troch členov vymenovaných Komisiou na základe odporúčenia agentúry. Členovia výboru sú menovaní na obdobie troch rokov, ktoré môže byť predĺžené. Členovia môžu byť sprevádzaní odborníkmi.
4. Výbor si zvolí predsedu na obdobie troch rokov, ktoré môže byť jedenkrát predĺžené.
5. Zástupcovia Komisie a výkonný riaditeľ agentúry alebo jeho zástupca sa môžu zúčastňovať všetkých zasadnutí výboru.
6. Agentúra poskytne výboru sekretariát.
7. Od členov výboru sa aj po ukončení ich povinností vyžaduje, aby zachovali mlčanlivosť o akýchkoľvek informáciách spadajúcich pod povinnosť zachovania profesionálneho tajomstva.

*Článok 5***Postup pre zaradenie a vyradenie z registra**

1. Aby bol liek zaradený medzi lieky na ojedinelé ochorenia, predloží sponzor agentúre žiadosť v akomkoľvek štádiu vývoja lieku pred podaním žiadosti o registráciu.
2. K žiadosti sa priložia tieto údaje a doklady:
 - a) meno alebo obchodný názov spoločnosti a trvalá adresa sponzora;
 - b) účinné látky lieku;
 - c) navrhnutá terapeutická indikácia;
 - d) odôvodnenie, že sú splnené kritériá stanovené v článku 3 ods. 1 a opis štádia vývoja, vrátane predpokladaných indikácií.
3. Komisia vypracuje po porade s členskými štátmi, agentúrou a zainteresovanými stranami podrobné usmernenia o požadovanom formáte obsahu žiadosti o zaradenie.
4. Agentúra overí platnosť žiadosti a pripraví výboru súhrnnú správu. V prípade potreby môže požadovať od sponzora doplnenie údajov a dokumentov priložených k žiadosti.

▼B

5. Agentúra zabezpečí, aby výbor vydal stanovisko do 90 dní od prijatia platnej žiadosti.

6. Výbor sa pri príprave stanoviska vynasnaží dosiahnuť súhlas. Ak takýto súhlas nie je možné dosiahnuť, prijme sa stanovisko väčšinou dvoch tretín členov výboru. Stanovisko možno získať písomným postupom.

7. Pokiaľ výbor zaujme stanovisko, že žiadosť nespĺňa kritériá ustanovené v článku 3 ods. 1, agentúra o tom bezodkladne informuje sponzora. Do 90 dní od doručenia stanoviska môže sponzor predložiť podrobné dôvody pre odvolanie, ktoré predloží agentúra výboru. Výbor na nasledujúcom zasadnutí posúdi, či by malo byť prehodnotené jeho stanovisko.

▼M1

8. Agentúra bezodkladne odošle konečné stanovisko výboru Komisii, ktorá prijme rozhodnutie do 30 dní od prijatia stanoviska. Pokiaľ za výnimočných okolností nie je návrh rozhodnutia v súlade so stanoviskom výboru, rozhodnutie sa prijme v súlade s regulačným postupom uvedeným v článku 10a ods. 2. Rozhodnutie sa oznámi sponzorovi a agentúre, ako aj príslušným orgánom členských štátov.

▼B

9. Zaradený liek sa zapíše do registra spoločenstva pre lieky na ojedinelé ochorenia.

10. Každý rok predloží sponzor agentúre správu o stave vývoja zaradeného lieku.

11. S cieľom prevodu zaradenia lieku na ojedinelé ochorenia na iného sponzora predloží držiteľ stanovenia osobitnú žiadosť agentúre. Po porade s členskými štátmi, agentúrou a zainteresovanými stranami vypracuje Komisia podrobné usmernenia o forme, akou sa žiadosti o prevod predkladajú a o obsahu takýchto žiadostí a všetkých údajov o novom sponzorovi.

12. Zaradený liek na ojedinelé ochorenia sa vyradí z registra spoločenstva pre lieky na ojedinelé ochorenia:

- a) na žiadosť sponzora;
- b) pokiaľ sa pred udelením registrácie zistí, že kritériá ustanovené v článku 3 nie sú vzhľadom na daný liek splnené;
- c) na konci obdobia výhradného práva na trhu, ako je ustanovené v článku 8.

*Článok 6***Pomoc pri príprave protokolu**

1. Sponzor lieku na ojedinelé ochorenia môže pred predložením žiadosti o registráciu požiadať agentúru o radu o vykonaní rôznych skúšok a hodnotení nevyhnutných na preukázanie kvality, bezpečnosti a účinnosti lieku podľa článku 51 písm. j) nariadenia (EHS) č. 2309/93.

2. Agentúra vypracuje postup pre vývoj liekov na ojedinelé ochorenia, ktoré zahŕňajú regulačnú podporu pri vymedzení obsahu žiadosti o registráciu v zmysle článku 6 nariadenia (EHS) č. 2309/93.

*Článok 7***Registrácia spoločenstva**

1. Osoba zodpovedná za uvedenie lieku na ojedinelé ochorenia na trh môže požiadať, aby bola registrácia lieku udelená spoločenstvom v súlade s ustanoveniami nariadenia (EHS) č. 2309/93 bez toho, aby

▼B

musela zdôvodňovať, že liek vyhovuje podmienkam časti B prílohy k tomuto nariadeniu.

2. Osobitný príspevok spoločenstva, odlišný od príspevku podľa článku 57 nariadenia (EHS) č. 2309/93, sa prideluje každý rok agentúre. Agentúra použije príspevok výhradne na čiastočné alebo úplné odpustenie všetkých poplatkov splatných podľa pravidiel spoločenstva prijatých podľa nariadenia (EHS) č. 2309/93. Podrobnú správu o použití tohoto osobitného príspevku predloží výkonný riaditeľ agentúry na konci každého roku. Akýkoľvek prebytok vzniknutý v danom roku sa prevedie a odpočíta od osobitného príspevku určeného na nasledujúci rok.

3. Registrácia udelená lieku na ojedinelé ochorenia pokrýva len tie terapeutické indikácie, ktoré spĺňajú kritériá stanovené v článku 3. Tým nie je dotknutá možnosť požiadať o oddelenú registráciu na ostatné indikácie mimo oblasť pôsobnosti tohto nariadenia.

*Článok 8***Výhradné právo na trhu**

1. Ak sa udelí registrácia na liek na ojedinelé ochorenia podľa nariadenia (EHS) č. 2309/93 alebo ak udelia registráciu všetky členské štáty v súlade s postupmi o vzájomnom uznávaní ustanovenými v článku 7 a 7a smernice 65/65/EHS alebo článku 9 ods. 4 smernice 75/319/EHS zo dňa 20. mája 1975 o aproximácii právnych a správnych predpisov týkajúcich sa liekov⁽¹⁾ a bez toho, aby boli dotknuté právne predpisy o duševnom vlastníctve alebo akékoľvek iné ustanovenia právnych predpisov spoločenstva, spoločenstvo a členské štáty neprijmú počas obdobia 10 rokov inú žiadosť o registráciu ani neudelia registráciu ani neprijmú žiadosť o rozšírenie už vydannej registrácie na rovnakú terapeutickú indikáciu na podobný liek.

2. Toto obdobie však môže byť skrátené na 6 rokov, ak sa na konci piateho roku pri danom lieku potvrdí, že kritériá ustanovené v článku 3 už nie sú splnené, pokiaľ sa *okrem iného* na základe dostupných dôkazov preukáže, že prípravok je dostatočne výnosný, takže zachovanie výhradného práva na trhu nie je odôvodniteľné. V tejto súvislosti členský štát informuje agentúru, že kritérium, na ktorého základe bolo udelené výhradné právo na trhu, možno nie je splnené, a agentúra dá podnet na začatie postupu ustanoveného v článku 5. Sponzor poskytne agentúre informácie nevyhnutné na tento účel.

3. Odchylné od odseku 1 a bez toho, aby boli dotknuté právne predpisy o duševnom vlastníctve alebo akékoľvek iné ustanovenia právnych predpisov spoločenstva možno udeliť registráciu pre rovnakú terapeutickú indikáciu podobnému lieku ak:

- a) držiteľ rozhodnutia o registrácii pôvodného lieku na ojedinelé ochorenia dal druhému žiadateľovi svoj súhlas, alebo
- b) držiteľ rozhodnutia o registrácii pôvodného lieku na ojedinelé ochorenia nie je schopný dodávať dostatočné množstvá lieku, alebo
- c) druhý žiadateľ môže v žiadosti preukázať, že druhý liek, hoci podobný už registrovanému lieku na ojedinelé ochorenia, je bezpečnejší, účinnejší alebo inak klinicky nadradený.

▼M1

4. Komisia prijme vymedzenia pojmov „podobný liek“ a „klinická nadradenosť“ vo forme vykonávacieho nariadenia.

Tieto opatrenia, zamerané na zmenu nepodstatných prvkov tohto nariadenia jeho doplnením, sa prijímajú v súlade s regulačným postupom s kontrolou uvedeným v článku 10a ods. 3.

⁽¹⁾ Ú. v. ES L 147, 9.6.1975, s. 13. Smernica naposledy zmenená a doplnená smernicou Rady 93/39/EHS (Ú. v. ES L 214, 24.8.1993, s. 22).

▼B

5. Komisia vypracuje podrobné usmernenia na uplatňovanie tohto článku po porade s členskými štátmi, agentúrou a zainteresovanými stranami.

*Článok 9***Iné stimuly**

1. Lieky zaradené medzi lieky na ojedinelé ochorenia podľa ustanovenia tohoto nariadenia môžu získať stimuly poskytnuté spoločenstvom a členskými štátmi na podporu výskumu, vývoja a dostupnosti liekov na ojedinelé ochorenia a najmä pomoc pre výskum pre malé a stredné podniky podľa rámcových programov pre výskum a technický rozvoj.

2. Pred 22. júlom 2000 členské štáty oznámia Komisii podrobné informácie týkajúce sa akýchkoľvek opatrení, ktoré prijali na podporu výskumu, vývoja a dostupnosti liekov na ojedinelé ochorenia alebo liekov, ktoré môžu byť ako také ustanovené. Uvedené informácie sa pravidelne aktualizujú.

3. Pred 22. januárom 2001 Komisia uverejní podrobný súpis všetkých stimulov poskytnutých spoločenstvom a členskými štátmi na podporu výskumu, vývoja a dostupnosti liekov na ojedinelé ochorenia. Uvedený súpis sa pravidelne aktualizuje.

*Článok 10***Všeobecná správa**

Pred 22. januárom 2006 Komisia uverejní všeobecnú správu o skúsenostiach získaných v dôsledku uplatňovania tohto nariadenia spolu s uvedením úžitku pre verejné zdravie, ktoré bolo dosiahnuté.

▼M1*Článok 10a*

1. Komisii pomáha Stály výbor pre lieky na humánne použitie so zreteľom na článok 121 ods. 1 smernice Európskeho parlamentu a Rady 2001/83/ES zo 6. novembra 2001, ktorou sa ustanovuje zákonník Spoločenstva o humánných liekoch ⁽¹⁾.

2. Ak sa odkazuje na tento odsek, uplatňujú sa články 5 a 7 rozhodnutia Rady 1999/468/ES ⁽²⁾ so zreteľom na jeho článok 8.

Lehota ustanovená v článku 5 ods. 6 rozhodnutia 1999/468/ES je tri mesiace.

3. Ak sa odkazuje na tento odsek, uplatňuje sa článok 5a ods. 1 až 4 a článok 7 rozhodnutia 1999/468/ES so zreteľom na jeho článok 8.

▼B*Článok 11***Nadobudnutie účinnosti**

Toto nariadenie nadobúda účinnosť v deň jeho uverejnenia v *Úradnom vestníku Európskych spoločenstiev*.

Uplatňuje sa odo dňa prijatia vykonávacích nariadení ustanovených v článku 3 ods. 2 a článku 8 ods. 4.

Toto nariadenie je záväzné vo svojej celistvosti a priamo uplatniteľné vo všetkých členských štátoch.

⁽¹⁾ Ú. v. ES L 311, 28.11.2001, s. 67.

⁽²⁾ Ú. v. ES L 184, 17.7.1999, s. 23.