

## EUROPAPARLAMENTS- OG RÅDSFORORDNING (EF) nr. 141/2000

2002/EØS/12/25

av 16. desember 1999

## om legemidler mot sjeldne sykdommer(\*)

EUROPAPARLAMENTET OG RÅDET FOR DEN EUROPEISKE UNION HAR —

under henvisning til traktaten om opprettelse av Det europeiske fellesskap, særlig artikkel 95,

under henvisning til forslag fra Kommisjonen<sup>(1)</sup>,

under henvisning til uttalelse fra Den økonomiske og sosiale komité<sup>(2)</sup>,

etter framgangsmåten fastsatt i traktatens artikkel 251<sup>(3)</sup> og

ut fra følgende betraktninger:

- 1) Noen sykelige tilstander opptrer så sjelden at kostnadene ved å utvikle og markedsføre et legemiddel beregnet på å diagnostisere, forebygge eller behandle dem ikke vil dekket av det forventede salget av produktet. Den farmasøytiske industri vil ikke være villige til å utvikle legemiddelet på vanlige markedsvilkår. Disse legemidlene kalles «legemidler mot sjeldne sykdommer».
- 2) Pasienter som lider av sjeldne sykelige tilstander bør ha tilgang til like god behandling som andre pasienter, og det er derfor nødvendig å oppmuntre den farmasøytiske industri til å fremme forskning, utvikling og markedsføring av egnede legemidler. Ordninger for å oppmuntre til utvikling av legemidler mot sjeldne sykdommer har eksistert i De forente stater siden 1983 og i Japan siden 1993.
- 3) I Den europeiske union er det så vel på nasjonalt plan som på fellesskapsplan så langt truffet bare få tiltak for å fremme utviklingen av legemidler mot sjeldne sykdommer. Slike tiltak bør helst vedtas på fellesskapsplan, for å dra nytte av et størst mulig marked og for å unngå spredning av begrensede midler. Tiltak på fellesskapsplan er å foretrekke framfor at medlemsstatene vedtar ikke-samordnede tiltak som kan føre til

konkurrensevridning og hindringer for handelen innenfor Fellesskapet.

- 4) De legemidler mot sjeldne sykdommer som kan omfattes av oppmuntringstiltak bør være lette og entydige å bestemme. Det virker mest hensiktsmessig å oppnå dette ved å utarbeide en åpen fellesskapsframgangsmåte med innsynsmulighet, for å utpeke visse legemidler som mulige legemidler mot sjeldne sykdommer.
- 5) Det bør bestemmes objektive kriterier for utpeking av legemidler mot sjeldne sykdommer, med utgangspunkt i prevalensen av den sykelige tilstanden en ønsker å diagnostisere, forebygge eller behandle. En prevalens som ikke overstiger fem tilfeller per 10 000 personer regnes normalt som en passende terskel. Legemidler beregnet på en livstruende, svært invalidiserende eller alvorlig og kronisk sykelig tilstand bør kunne omfattes av tiltak, også når prevalensen er høyere enn fem per 10 000.
- 6) Det bør nedsettes en komité bestående av sakkyndige utpekt av medlemsstatene, som skal behandle søknadene om utpeking. Komiteen bør også omfatte tre representanter for pasientforeninger utpekt av Kommisjonen, samt tre andre personer som også utpekes av Kommisjonen etter anbefaling fra Det europeiske kontor for legemiddelvurdering (heretter kalt «kontoret»). Kontoret bør være ansvarlig for en passende samordning mellom Komiteen for legemidler mot sjeldne sykdommer og Komiteen for farmasøytiske spesialpreparater.
- 7) Pasienter som lider av slike sykelige tilstander bør ha rett til legemidler med samme kvalitet, sikkerhet og virkning som dem andre pasienter får. Legemidler mot sjeldne sykdommer bør derfor gjennomgå en normal vurderingsprosedyre. Det bør være mulig for sponsorer for legemidler mot sjeldne sykdommer å få en fellesskapsgodkjenning. For å gjøre det lettere å tildele eller beholde denne fellesskapsgodkjenningen, bør det i det minste delvis kunne gjøres et unntak med hensyn til kontorets gebyr, og det medfølgende innteksttap for kontoret bør i så fall dekket av fellesskapsbudsjettet.

(\*) Denne fellesskapsrettsakten, kunngjort i EFT L 18 av 22.1.2000, s. 1, er omhandlet i EØS-komiteens beslutning nr. 68/2001 av 19. juni 2001 om endring av EØS-avtalens vedlegg II (Tekniske forskrifter, standarder, prøving og sertifisering), se EØS-tillegget til De Europeiske Fellesskaps Tidende nr. 44 av 6.9.2001, s. 12.

<sup>(1)</sup> EFT C 276 av 4.9.1998, s. 7.

<sup>(2)</sup> EFT C 101 av 12.4.1999, s. 37.

<sup>(3)</sup> Europaparlamentsuttalelse av 9. mars 1999 (EFT C 175 av 21.6.1999, s. 61), Rådets felles holdning av 27. september 1999 (EFT C 317 av 4.11.1999, s. 34) og europaparlamentsbeslutning av 15. desember 1999 (ennå ikke kunngjort i EFT).

- 8) Erfaringen fra De forente stater og Japan viser at den mest effektive måten å oppmuntre den farmasøytiske industri til å investere i utvikling og markedsføring av legemidler mot sjeldne sykdommer på, er å åpne for muligheten til enerett på markedet i et bestemt antall år, der deler av investeringen kan betale seg. Bestemmelsene om datasikring fastsatt i artikkel 4 nr. 8 bokstav a) iii) i rådsdirektiv 65/65/EØF av 26. januar 1965 om tilnærming av lover og forskrifter om farmasøytiske spesialpreparater<sup>(1)</sup> gir ikke tilstrekkelig oppmuntring til dette. Medlemsstatene kan ikke uavhengig av hverandre vedta et slikt tiltak uten en fellesskapsdimensjon, ettersom en slik bestemmelse ville være i strid med direktiv 65/65/EØF. Dersom slike tiltak ble vedtatt på en ikke-samordnet måte av medlemsstatene, ville det skape hindringer for handelen innen Fellesskapet og føre til konkurransevridning og motvirke det felles marked. Eneretten på markedet bør imidlertid begrenses til den terapeutiske indikasjon som utpekingen av legemiddelet mot sjeldne sykdommer bygger på, uten at det berører eksisterende immaterialrettigheter. Av hensyn til pasientene bør den enerett på markedet som tildeles et legemiddel mot sjeldne sykdommer ikke hindre markedsføringen av et lignende legemiddel som kan være til betydelig nytte for personer som lider av slike sykelige tilstander.
- 9) De sponsorer for legemidler mot sjeldne sykdommer som utpekes i henhold til denne forordning bør i fullt omfang få nytte godt av ethvert oppmuntringstiltak vedtatt av Fellesskapet eller medlemsstatene for å fremme forskning i og utvikling som gjelder legemidler beregnet på å diagnostisere, forebygge eller behandle slike sykelige tilstander, herunder sjeldne sykdommer.
- 10) Særprogrammet Biomed 2 innenfor det fjerde rammeprogram for forskning og teknisk utvikling (1994-1998) støttet forskning i behandling av sjeldne sykdommer, særlig utarbeiding av en metodikk som åpner for rask utvikling av legemidler mot sjeldne sykdommer og opprettelse av fortegnelser over tilgjengelige legemidler mot sjeldne sykdommer i Europa. Målet med bevilgningene til dette var å fremme et tverrnasjonalt samarbeid for å drive grunnleggende og klinisk forskning i sjeldne sykdommer. Forskning i sjeldne sykdommer vil fortsatt prioriteres i Fellesskapet, i og med at den er innlemmet i det femte rammeprogram for forskning og teknologisk utvikling (1998-2002). Denne forordning fastsetter en rettslig ramme som vil muliggjøre en rask og effektiv gjennomføring av forskningsresultatene.
- 11) Sjeldne sykdommer er bestemt som et prioritert område for fellesskapstiltak på området folkehelse. Kommisjonen har i sin melding om et fellesskapshandlingsprogram for sjeldne sykdommer i forbindelse med tiltak på området folkehelse besluttet å prioritere sjeldne sykdommer i forbindelse med

folkehelse. Europaparlamentet og Rådet har vedtatt beslutning nr. 1295/1999/EF av 29. april 1999 om vedtakelse av Fellesskapets handlingsprogram for sjeldne sykdommer innenfor rammen av innsatsen for folkehelsen (1999-2003)<sup>(2)</sup>, herunder tiltak for å framskaffe opplysninger, studere gruppetilfeller av sjeldne sykdommer i en befolkningsgruppe og støtte berørte pasientforeninger. Denne forordning gjennomfører et av de prioriterte feltene som er fastsatt i dette handlingsprogrammet —

VEDTATT DENNE FORORDNING:

#### Artikkel 1

##### Formål

Formålet med denne forordning er å opprette en framgangsmåte i Fellesskapet for utpeking av legemidler som legemidler mot sjeldne sykdommer, og å innføre oppmuntringstiltak for å fremme forskning i, utvikling av og markedsføring av de legemidler som er utpekt som legemidler mot sjeldne sykdommer.

#### Artikkel 2

##### Definisjoner

I denne forordning menes med

- a) «legemiddel»: et legemiddel til bruk for mennesker, slik det er definert i artikkel 2 i direktiv 65/65/EØF,
- b) «legemiddel mot sjeldne sykdommer»: et legemiddel som er utpekt som dette etter vilkårene fastsatt i denne forordning,
- c) «sponsor»: enhver fysisk eller juridisk person, som er etablert i Fellesskapet, som ønsker å få eller har fått et legemiddel utpekt som et legemiddel mot sjeldne sykdommer,
- d) «kontoret»: Det europeiske kontor for legemiddelevurdering.

#### Artikkel 3

##### Utpekingskriterier

1. Et legemiddel skal utpekes som et legemiddel mot sjeldne sykdommer dersom sponsoren kan bevise
    - a) at det er beregnet på å diagnostisere, forebygge eller behandle en livstruende eller kronisk invalidiserende sykkelig tilstand som rammer høyst fem personer per 10 000 i Fellesskapet når søknaden innsendes, eller
- at det er beregnet på å diagnostisere, forebygge eller behandle en livstruende sykdom, en sterkt invalidiserende sykdom eller en alvorlig og kronisk sykkelig tilstand i Fellesskapet, og at det uten oppmuntringstiltak er lite sannsynlig at markedsføringen av legemiddelet i Fellesskapet ville gi tilstrekkelig avkastning til å berettige den nødvendige investering,

<sup>(1)</sup> EFT 22 av 9.2.1965, s. 369. Direktivet sist endret ved direktiv 93/39/EØF (EFT L 214 av 24.8.1993, s. 22).

<sup>(2)</sup> EFT L 155 av 22.6.1999, s. 1.

og

b) at det i Fellesskapet ikke er godkjent noen tilfredsstillende metode for å diagnostisere, forebygge eller behandle den aktuelle sykelige tilstanden eller, dersom en slik metode finnes, at legemiddelet vil være til betydelig nytte for dem som lider av denne sykelige tilstanden.

2. Kommisjonen skal vedta de bestemmelser som er nødvendige for å gjennomføre denne artikkel i form av en gjennomføringsforordning etter framgangsmåten fastsatt i artikkel 72 i rådsforordning (EØF) nr. 2309/93<sup>(1)</sup>.

#### Artikkel 4

##### Komiteen for legemidler mot sjeldne sykdommer

1. Det nedsettes herved, innenfor rammen av kontoret, en komité for legemidler mot sjeldne sykdommer, heretter kalt «komiteen».

2. Komiteens oppgave skal være

- a) å undersøke søknader om utpeking av et legemiddel som et legemiddel mot sjeldne sykdommer som er innsendt i henhold til denne forordning,
- b) å gi Kommisjonen råd ved etableringen og utviklingen av en politikk for legemidler mot sjeldne sykdommer for Den europeiske union,
- c) å bistå Kommisjonen i internasjonale drøftinger om spørsmål i tilknytning til legemidler mot sjeldne sykdommer, og i kontakten med pasientstøttegrupper,
- d) å bistå Kommisjonen i utarbeidingen av utførlige retningslinjer.

3. Komiteen skal bestå av et medlem utnevnt av hver medlemsstat, tre medlemmer utnevnt av Kommisjonen som representanter for pasientforeninger og tre medlemmer utpekt av Kommisjonen etter anbefaling fra kontoret. Medlemmene av komiteen skal utnevnes for en periode på tre år, som kan forlenges. De kan ledsages av sakkyndige.

4. Komiteen skal velge sin leder for tre år, som kan forlenges én gang.

5. Kommisjonens representanter og kontorets daglige leder eller dennes representant kan delta i alle komiteens møter.

6. Kontoret skal sørge for komiteens sekretariat.

7. Komiteens medlemmer er pålagt, også etter at deres funksjoner er avsluttet, ikke å avsløre opplysninger som er omfattet av taushetsplikt.

#### Artikkel 5

##### Framgangsmåte for utpeking til eller for sletting fra registeret

1. For å få et legemiddel utpekt som et legemiddel mot sjeldne sykdommer, skal sponsoren på et hvilket som helst trinn i utviklingen av legemiddelet innsende en søknad til

kontoret, før søknaden om markedsføringstillatelse framlegges.

2. Søknaden skal vedlegges følgende opplysninger og dokumenter:

- a) sponsorens navn eller firma samt faste adresse,
- b) legemiddelets virksomme stoffer,
- c) foreslått terapeutisk indikasjon,
- d) dokumentasjon for at kriteriene fastsatt i artikkel 3 nr. 1 er oppfylt, samt en beskrivelse av utviklingstrinnet, herunder forventede indikasjoner.

3. Kommisjonen skal i samråd med medlemsstatene, kontoret og de berørte parter utarbeide utførlige retningslinjer for hvilket format søknadene om utpeking skal ha og hva de skal inneholde.

4. Kontoret skal kontrollere søknadens gyldighet og utarbeide en sammendragsrapport til komiteen. Når det er nødvendig, kan kontoret kreve at sponsoren supplerer de opplysninger og dokumenter som er vedlagt søknaden.

5. Kontoret skal sikre at komiteen avgir en uttalelse innen 90 dager etter at en gyldig søknad er mottatt.

6. Når komiteen utarbeider sin uttalelse, skal den bestrebe seg på å oppnå enighet. Dersom slik enighet ikke oppnås, skal uttalelsen vedtas med et flertall på to tredeler av komiteens medlemmer. Uttalelsen kan framkomme ved en skriftlig framgangsmåte.

7. Dersom det framgår av komiteens uttalelse at søknaden ikke oppfyller kriteriene fastsatt i artikkel 3 nr. 1, skal kontoret omgående underrette sponsoren om dette. Sponsoren kan innen 90 dager etter å ha mottatt uttalelsen framlegge en utførlig begrunnelse for å klage, som kontoret skal oversende komiteen. Komiteen skal på det påfølgende møte vurdere om uttalelsen bør endres.

8. Komiteen skal omgående framlegge komiteens endelige uttalelse for Kommisjonen, som skal vedta en beslutning innen 30 dager etter å ha mottatt uttalelsen. Dersom utkastet til beslutning unntaksvis ikke er i samsvar med komiteens uttalelse, skal beslutningen vedtas etter framgangsmåten fastsatt i artikkel 73 i forordning (EØF) nr. 2309/93. Beslutningen skal meddeles sponsoren og oversendes kontoret og vedkommende myndigheter i medlemsstatene.

9. Det utpekte legemiddelet innføres i fellesskapsregisteret over legemidler mot sjeldne sykdommer.

10. Sponsoren skal hvert år framlegge en rapport for kontoret om status for utviklingen av det utpekte legemiddelet.

11. For å få overført en utpeking av et legemiddel mot sjeldne sykdommer til en annen sponsor, skal innehaveren av utpekingen sende en særskilt søknad til kontoret. I samråd med medlemsstatene, kontoret og de berørte parter skal Kommisjonen utarbeide utførlige retningslinjer for formatet til og innholdet i søknadene om overføring samt alle opplysninger om den nye sponsoren.

<sup>(1)</sup> EFT L 214 av 24.8.1993, s. 1. Forordningen sist endret ved kommisjonsforordning (EF) nr. 649/98 (EFT L 88 av 24.3.1998, s. 7).

12. Et legemiddel som er utpekt som et legemiddel mot sjeldne sykdommer skal slettes fra fellesskapsregisteret for legemidler mot sjeldne sykdommer

- a) på anmodning fra sponsoren,
- b) dersom det før markedsføringstillatelsen gis kan fastslås at kriteriene fastsatt i artikkel 3 ikke lenger er oppfylt når det gjelder det berørte legemiddelet,
- c) ved utløpet av perioden for enerett på markedet nevnt i artikkel 8.

#### Artikkel 6

##### Protokollbistand

1. Før innsending av en søknad om markedsføringstillatelse kan sponsoren for et legemiddel mot sjeldne sykdommer anmode kontoret om råd om de ulike prøvinger og undersøkelser som skal gjennomføres for å påvise legemiddelets kvalitet, sikkerhet og virkning, i samsvar med artikkel 51 bokstav j) i forordning (EØF) nr. 2309/93.

2. Kontoret skal utarbeide en framgangsmåte for utviklingen av legemidler mot sjeldne sykdommer, som skal omfatte regelverksmessig bistand om innholdet i søknaden om markedsføringstillatelse i henhold til artikkel 6 i forordning (EØF) nr. 2309/93.

#### Artikkel 7

##### Markedsføringstillatelse i Fellesskapet

1. Den person som er ansvarlig for markedsføringen av et legemiddel mot sjeldne sykdommer, kan anmode om at Fellesskapet utsteder en tillatelse til å markedsføre legemiddelet i henhold til bestemmelsene i forordning (EØF) nr. 2309/93, uten at vedkommende må dokumentere at legemiddelet faller inn under del B i vedlegget til nevnte forordning.

2. Fellesskapet skal hvert år yte et særskilt bidrag til kontoret, som skal skille seg fra bidraget fastsatt i artikkel 57 i forordning (EØF) nr. 2309/93. Bidraget skal brukes av kontoret utelukkende til helt eller delvis å gi fritak for de gebyrer som skal betales i henhold til de fellesskapsbestemmelser som er vedtatt i henhold til nevnte forordning. Kontorets daglige leder skal ved utgangen av hvert år framlegge en utførlig rapport om hvordan dette særskilte bidraget er anvendt. Ethvert overskudd i løpet av et år skal overføres og trekkes fra det særskilte bidraget for det etterfølgende år.

3. Den markedsføringstillatelse som tildeles for et legemiddel mot sjeldne sykdommer skal dekke bare de terapeutiske indikasjoner som oppfyller kriteriene oppført i artikkel 3. Dette utelukker ikke muligheten til å søke om en separat markedsføringstillatelse for andre indikasjoner utenfor denne forordnings virkeområde.

#### Artikkel 8

##### Enerett på markedet

1. Når en markedsføringstillatelse for et legemiddel mot sjeldne sykdommer er gitt i henhold til forordning (EØF) nr. 2309/93, eller når alle medlemsstatene har gitt en markedsføringstillatelse for legemiddelet etter framgangsmåtene for gjensidig godkjenning fastsatt i artikkel 7 og 7a i direktiv 65/65/EØF eller artikkel 9 nr. 4 i rådsdirektiv 75/319/EØF av 20. mai 1975 om tilnærming av lover og forskrifter om farmasøytiske spesialpreparater<sup>(1)</sup>, og med forbehold for immaterialrettslige bestemmelser eller enhver annen bestemmelse i fellesskapsretten, skal Fellesskapet og medlemsstatene i en periode på ti år, for den samme terapeutiske indikasjon, avstå fra å godkjenne en annen søknad om markedsføringstillatelse, gi en markedsføringstillatelse eller godkjenne en søknad om forlengelse av en eksisterende markedsføringstillatelse for et lignende legemiddel.

2. Denne perioden kan imidlertid ved utgangen av det femte året reduseres til seks år, dersom det for det gjeldende legemiddel påvises at kriteriene fastsatt i artikkel 3 ikke lenger er oppfylt, og der det blant annet på grunnlag av tilgjengelige opplysninger er påvist at produktet er så vidt lønnsomt at det ikke er berettiget å opprettholde eneretten på markedet. I så fall skal en medlemsstat underrette kontoret om at det kriterium som eneretten på markedet ble gitt på grunnlag av, muligens ikke lenger oppfylles, og kontoret skal da iverksette framgangsmåten fastsatt i artikkel 5. Sponsoren skal skaffe kontoret de opplysninger som er nødvendige for dette formål.

3. Som unntak fra nr. 1 og med forbehold for immaterialrettslige bestemmelser eller enhver annen bestemmelse i fellesskapsretten kan det gis en markedsføringstillatelse for den samme terapeutiske indikasjon for et lignende legemiddel, dersom

- a) innehaveren av markedsføringstillatelsen for det opprinnelige legemiddelet mot sjeldne sykdommer har gitt sitt samtykke til den andre søkeren, eller
- b) innehaveren av markedsføringstillatelsen for det opprinnelige legemiddelet mot sjeldne sykdommer ikke er i stand til å levere tilstrekkelige mengder av produktet eller
- c) den andre søkeren kan påvise i søknaden at det andre legemiddelet, til tross for at det ligner på det allerede godkjente legemiddelet mot sjeldne sykdommer, er sikrere, mer effektivt og for øvrig klinisk overlegent.

4. Kommisjonen skal vedta definisjoner for «lignende legemiddel» og «klinisk overlegenhet» i form av en gjennomføringsforordning etter framgangsmåten fastsatt i artikkel 72 i forordning (EØF) nr. 2309/93.

5. Kommisjonen skal i samråd med medlemsstatene, kontoret og de berørte parter utarbeide utførlige retningslinjer for anvendelsen av denne artikkel.

<sup>(1)</sup> EFT L 147 av 9.6.1975, s. 13. Direktivet sist endret ved rådsdirektiv 93/39/EØF (EFT L 214 av 24.8.1993, s. 22).

*Artikkel 9***Andre oppmuntringstiltak**

1. Legemidler som utpekes som legemidler mot sjeldne sykdommer i henhold til bestemmelsene i denne forordning, skal kunne omfattes av oppmuntringstiltak truffet av Fellesskapet og medlemsstatene for å støtte forskning i og utvikling og markedsføring av legemidler mot sjeldne sykdommer, særlig støtte til forskning for små og mellomstore bedrifter, slik det er fastsatt i rammeprogrammene for forskning og teknologisk utvikling.

2. Medlemsstatene skal før 22. juli 2000 oversende utførlige opplysninger til Kommisjonen om ethvert tiltak de har vedtatt for å fremme forskning i og utvikling og markedsføring av legemidler mot sjeldne sykdommer eller legemidler som kan utpekes som slike. Opplysningene skal ajourføres jevnlig.

3. Kommisjonen skal før 22. januar 2001 offentliggjøre en utførlig fortegnelse over alle de oppmuntringstiltak som Kommisjonen og medlemsstatene har vedtatt for å fremme

forskning i og utvikling og markedsføring av legemidler mot sjeldne sykdommer. Fortegnelsen skal ajourføres regelmessig.

*Artikkel 10***Generell rapport**

Kommisjonen skal før 22. januar 2006 offentliggjøre en generell rapport om de erfaringer som er gjort som et resultat av anvendelsen av denne forordning, som også skal omfatte en redegjørelse for de fordeler som er oppnådd for folkehelsen.

*Artikkel 11***Ikrafttredelse**

Denne forordning trer i kraft den dag den kunngjøres i *De Europaiske Fellesskaps Tidende*.

Den får anvendelse fra datoen for vedtakelse av gjennomføringsforordningene fastsatt i artikkel 3 nr. 2 og artikkel 8 nr. 4.

Denne forordning er bindende i alle deler og kommer direkte til anvendelse i alle medlemsstater.

Utferdiget i Brussel, 16. desember 1999.

*For Europaparlamentet*

N. FONTAINE

*President*

*For Rådet*

K. HEMILÄ

*Formann*