



Dobrzański
Bzymek-Waśniewska
Sroka-Maleta

Akademia DBS

Praktyczny przewodnik prawny Life Sciences

L – lek sierocy

Lek sierocy – czyli co?

Mianem **leku sierocego** określa się co do zasady lek przeznaczony do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia choroby rzadkiej, tj. choroby zagrażającej życiu lub powodującej chroniczny ubytek zdrowia, która występuje u nie więcej niż 5 na 10 000 pacjentów w Unii Europejskiej.

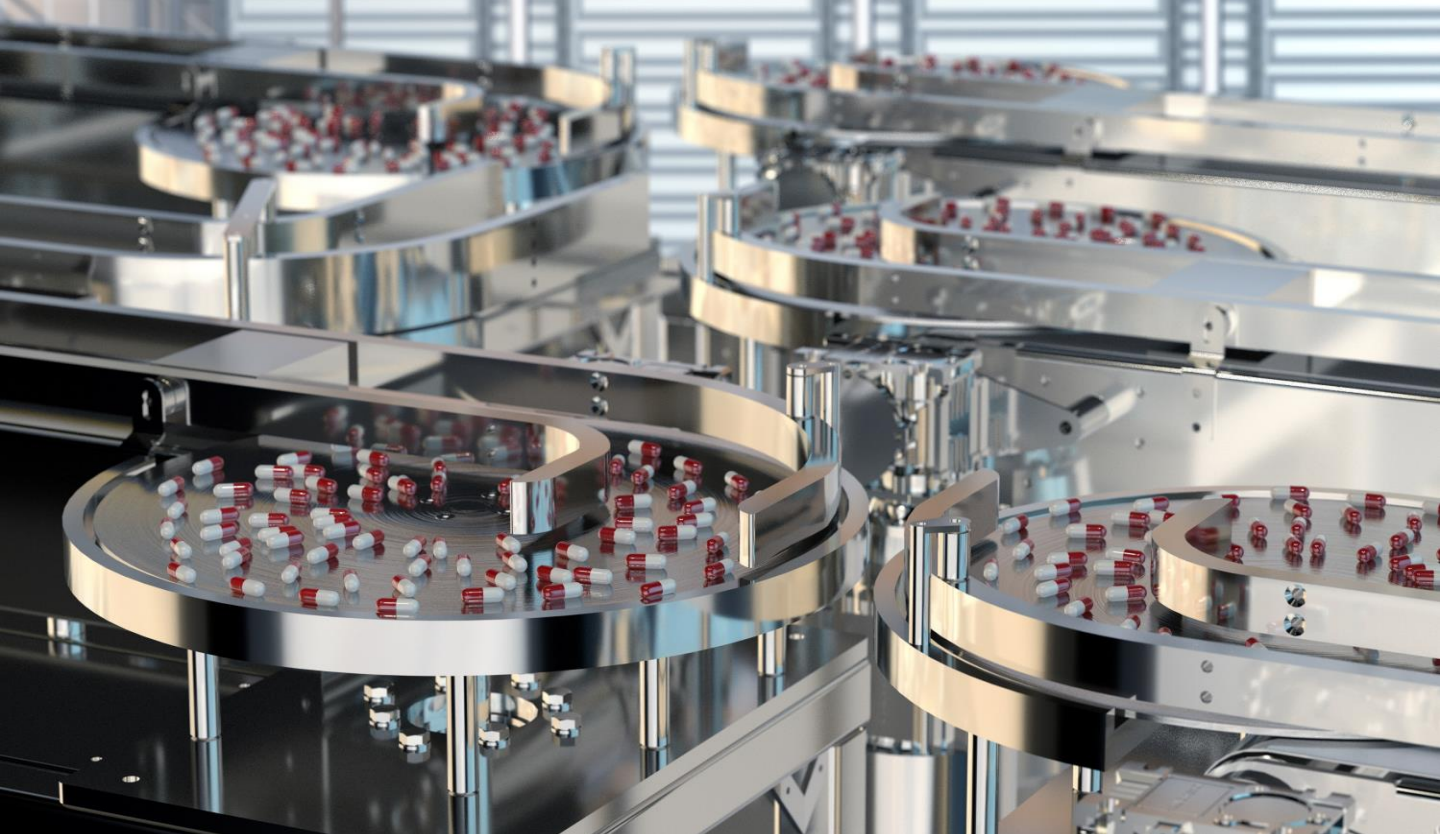
Leki sieroce są objęte regulacją unijnego rozporządzenia nr 141/2000 z dnia 16 grudnia 1999 r.





Przesłanki oznaczenia leku jako sierocego – choroba rzadka

- Ocenę populacji pacjentów chorujących na daną chorobę ustala się na dzień składania wniosku o oznaczenie leku jako sierocy.
- Oznaczenie leku jako sierocy jest możliwe również wówczas, gdy lek nie jest przeznaczony dla stosowania w chorobie rzadkiej, o ile zostanie wykazane, że wygenerowanie zwrotu kosztów niezbędnych inwestycji wskutek wprowadzenia leku na rynek jest mało prawdopodobne bez odpowiednich zachęt.



Przesłanki oznaczenia leku jako sierocego – brak alternatywnej metody

- Drugą przesłanką konieczną dla oznaczenia leku jako sierocego jest brak zadowalającej metody diagnozowania, zapobiegania lub leczenia danej choroby, która byłaby zarejestrowana w UE.
- Jeżeli istnieje zadowalająca metoda diagnozowania, zapobiegania lub leczenia danej choroby, dla oznaczenia leku jako sierocego konieczne jest, aby lek przyniósł znaczące korzyści pacjentom cierpiącym na daną chorobę.





Wyłączność regulacyjna dla leków sierocych

- Sieroce produkty lecznicze korzystają z 10-letniej wyłączności rynkowej od momentu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.
- Wyłączność rynkowa dla leków sierocych jest szersza niż ta, z której korzystają pozostałe leki – w przypadku leków sierocych w 10-letnim okresie ochrony (1) nie zostanie przyjęty wniosek lub wydane pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ani (2) nie zostanie przyjęty wniosek o rozszerzenie istniejącego pozwolenia dla tego samego wskazania terapeutycznego dla podobnego produktu leczniczego.
- Powyższe oznacza, że na skutek rozszerzonej ochrony podobny produkt w tym wskazaniu nie będzie dopuszczony do obrotu nawet po przeprowadzeniu własnych badań klinicznych.





Inne zachęty dla leków sierocych

- Niewielkie populacje pacjentów skutkują mniejszym zainteresowaniem inwestycjami w rozwój leków stosowanych w chorobach rzadkich. Dodatkowa wyłączość regulacyjna oraz inne zachęty mają na celu stymulację opracowywania terapii w tym obszarze.
- Do innych zachęt należą m.in. wsparcie naukowe na etapie badań nad produktem, niższe opłaty rejestracyjne oraz możliwość uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej.





Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych

- Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. *Comittee for Orphan Medicinal Products* – COMP) to organ powołany w ramach Europejskiej Agencji Leków, którego głównym zadaniem jest badanie wniosków o oznaczenie produktów leczniczych jako sierocych.
- W skład komitetu wchodzi przedstawiciele państw członkowskich UE (po jednym z każdego kraju), trzech przedstawiciele organizacji pacjentów oraz trzech członkowie mianowani przez Komisję Europejską.





Uzyskanie statusu leku sierocego – procedura

- Wniosek o oznaczenie leku jako sierocego składa się na dowolnym etapie prac nad produktem, zanim zostanie złożony wniosek o jego rejestrację.
- W ciągu 90 dni od otrzymania ważnego wniosku Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych wydaje opinię. O negatywnej opinii niezwłocznie powiadamia się sponsora (podmiot wnioskujący o oznaczenie leku jako sierocego), który może następnie przedłożyć odwołanie z uzasadnieniem.
- Końcowa opinia Komitetu jest następnie przesyłana do Komisji Europejskiej, która podejmuje decyzję w ciągu 30 dni od jej otrzymania.
- Przestanki oznaczenia produktu jako leku sierocego są ponownie badane na dzień wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.





Dobrzański
Bzymek-Waśniewska
Sroka-Maleta



Marta Sroka-Maleta
Radca prawny, Partner Współzarządzający
martasrokamaleta@kancelariadbs.pl



Michał Kozłowski
Aplikant radcowski
michalkozlowski@kancelariadbs.pl