

REGLUGERÐ

um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum

I. KAFLI

Almenn ákvæði

1. gr.

Gildissvið.

Reglugerð þessi gildir um notkun lyfja fyrir menn af mannúðarástæðum sem ekki hafa markaðsleyfi og þau skilyrði sem sett eru fyrir slíkri notkun.

Reglugerðin gildir ekki um:

- Notkun lyfja án markaðsleyfis, sbr. 2. og 3. mgr. 11. gr. lyfjalaga nr. 100/2020 og undanþágulyf sbr. 12. gr. lyfjalaga nr. 100/2020.
- Lyf sem eru með markaðsleyfi, hvort sem þau eru markaðssett eða ekki, en notkun á að vera í öðrum tilgangi eða fyrir annan sjúklingahóp en samkvæmt markaðsleyfinu.
- Notkun á markaðsettum lyfjum utan ábendinga þeirra.

2. gr.

Markmið.

Markmið reglugerðarinnar er að veita sjúklingum aðgengi að lyfjum, sem eru í yfirstandandi klínískum prófunum eða lyfjum sem hafa ekki fengið markaðsleyfi en sótt hefur verið um miðlægt markaðsleyfi fyrir, að þeim skilyrðum uppfylltum sem tilgreind eru í þessari reglugerð.

3. gr.

Skilgreiningar.

Í þessari reglugerð er merking eftirfarandi hugtaka sem hér segir:

- Notkun lyfja af mannúðarástæðum:** Að gera tiltekið lyf aðgengilegt af mannúðarástæðum fyrir hóp sjúklinga með sjúkdóm sem veldur langvarandi eða alvarlegri fötlun eða sjúkdóm sem er talinn vera lífshættulegur og sem ekki er hægt að meðhöndla á viðunandi hátt með lyfi með markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu. Umsókn um miðlægt markaðsleyfi fyrir lyfið skal liggja fyrir eða klínískar prófanir á því verið heimilaðar.
- Lyf sem notuð eru af mannúðarástæðum:** Lyf þar sem umsókn um miðlægt markaðsleyfi liggur fyrir en hefur ekki verið afgreidd eða lyf er viðfangsefni klínískrar prófunar.
- Umsækjandi:** Umsækjandi miðlægs markaðsleyfis eða framleiðandi lyfs sem verið er að prófa í klínískri prófun.
- Miðlægt markaðsleyfi:** Markaðsleyfi sem veitt eru af Lyfjastofnun Evrópu á grundvelli 6. gr. reglugerðar (EB) 726/2004.
- Klínísk prófun:** Eins og það er skilgreint í 3. gr. reglugerðar nr. 1311/2021 um klínískar prófanir á mannalyfjum.
- Sjúklingahópur:** Hópur af sjúklingum (þ.e. fleiri en einn) sem talinn er njóta góðs af meðferð við ákveðnum sjúkdómi með lyfi sem notað er af mannúðarástæðum.
- Sjúkdómur sem veldur langvarandi eða alvarlegri fötlun:** Sjúkdómur sem hefur veruleg áhrif á daglegt líf sjúklings og mun þróast til hins verra og/eða leiða til dauða ef hann er ómeðhöndlaður, t.d. krabbamein, HIV/alnæmi, taugahrörnunarsjúkdómar og sjálfsöfnæmissjúkdómar.
- Setning á markað:** Fyrsta skipti sem lyf er boðið fram á markaði í einu eða fleiri aðildarríkjum Evrópska efnahagssvæðisins, eftir því sem við á.

II. KAFLI

Umsókn um notkun lyfja af mannúðarástæðum.

4. gr.

Skilyrði fyrir notkun lyfja af mannúðarástæðum.

Eftirfarandi skilyrði þurfa að vera uppfyllt svo heimila megi notkun lyfs af mannúðarástæðum:

- a. Umsókn um miðlægt markaðsleyfi lyfs liggur fyrir hjá Lyfjastofnun eða Lyfjastofnun Evrópu en hefur ekki verið afgreidd, eða lyfið er viðfangsefni klínískrar prófunar og fyrir liggur að viðkomandi sjúklingahópur getur ekki tekið þátt í þeirri prófun,
- b. lyfið er ætlað hópi sjúklinga með sjúkdóm sem veldur langvarandi eða alvarlegri fötlun eða sjúkdóm sem er talinn vera lífshættulegur,
- c. ekki er hægt að meðhöndla sjúkdóminn á viðunandi hátt með lyfi sem hefur fengið markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu, og
- d. fullnægjandi vísbendingar liggi fyrir um að sambandið á milli áhættu og ávinning lyfsins talið að mestu leyti jákvætt fyrir viðkomandi sjúklingahóp.

5. gr.

Umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum.

Umsækjandi skal senda Lyfjastofnun umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum. Með umsókninni skulu fylgja öll umsóknargögn sem Lyfjastofnun óskar eftir. Lyfjastofnun skal meta hvort skilyrði notkunar lyfs af mannúðarástæðum, sbr. 4. gr., séu uppfyllt. Þegar umsókn um lyf til notkunar af mannúðarástæðum berst skal Lyfjastofnun tilkynna Lyfjastofnun Evrópu þar um.

Lyfjastofnun skal birta upplýsingar um nauðsynleg gögn á vefsíðu stofnunarinnar.

Lyfjastofnun er heimilt að taka gjald fyrir umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum í samræmi við gildandi gjaldskrá stofnunarinnar hverju sinni.

6. gr.

Álit um notkun lyfs af mannúðarástæðum.

Áður en Lyfjastofnun samþykkir notkun lyfs af mannúðarástæðum skal hún óska eftir áliti frá mannalyfjanefnd Lyfjastofnunar Evrópu, sem í samráði við framleiðandann eða umsækjandann, gefur út álit um skilyrði fyrir notkun og dreifingu og þá sjúklinga sem lyfinu er ætlað. Umsækjandi greiðir gjald vegna útgefins álits til Lyfjastofnunar Evrópu sem innheimtir og ákvarðar gjaldið.

Lyfjastofnun er skylt að taka tillit til álita nefndarinnar við ákvörðun um að heimila notkun lyfs af mannúðarástæðum.

Álit mannalyfjanefndar Lyfjastofnunar Evrópu skulu ekki hafa áhrif á einkaréttar- eða refsíabyrgð framleiðandans eða umsækjandans um miðlægt markaðsleyfi.

Lyfjastofnun getur óskað eftir umsögn lyfjanefndar Landspítalans og/eða Sjúkratrygginga Íslands áður en umsókn er samþykkt.

7. gr.

Afgreiðsla umsóknar.

Eftir að álit mannalyfjanefndar Lyfjastofnunar Evrópu liggur fyrir skal Lyfjastofnun afgreiða umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum innan 35 virkra daga.

Lyfjastofnun er heimilt að samþykkja umsókn til ákveðins tíma. Þegar sá tími er liðinn þarf að sækja um notkun lyfs af mannúðarástæðum að nýju.

III. KAFLI

Sérstök ákvæði

8. gr.

Öryggi lyfs.

Tilkynna skal aukaverkanir lyfs í samræmi við lyfjalög nr. 100/2020.

Umsækjandi skal upplýsa sjúklinga og meðferðarlækna um allar breytingar á heimild til notkunar lyfs af mannúðarástæðum án tafar.

9. gr.

Kostnaður og aðgengi að lyfinu eftir að lyf hefur fengið markaðsleyfi.

Lyf sem notuð eru af mannúðarástæðum skulu vera sjúklingum að kostnaðarlausu á þeim tíma sem notkun af mannúðarástæðum fer fram.

Þegar umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum hefur verið samþykkt skal umsækjandi sjá til þess að sjúklingar, sem nota lyfið, hafi aðgang að lyfinu á tímabilinu frá því að miðlægt markaðsleyfi er veitt og þar til það er sett á markað innan Evrópska efnahagssvæðisins. Eftir þann tíma skal umsækjandi tryggja þeim sjúklingum sem hafa notað lyfið, aðgang að því, án kostnaðar, svo lengi sem klínísk þörf er á að mati meðferðarlæknis.

Eftir að lyf hefur verið sett á markað á Íslandi gilda almennar reglur um greiðsluþátttöku fyrir nýja sjúklinga.

10. gr.

Innflutningur og dreifing lyfja sem hafa fengið heimild til notkunar af mannúðarástæðum.

Um dreifingu og innflutning á lyfjum vegna notkunar af mannúðarástæðum fer eftir lyfjalögum, nr. 100/2020 og reglugerðum settum skv. þeim.

11. gr.

Breytingar á heimild notkunar lyfs af mannúðarástæðum.

Umsækjandi skal sækja um til Lyfjastofnunar breytingar á heimild til notkun lyfs af mannúðarástæðum. Breyting telst veruleg ef líklegt er að hún hafi áhrif á öryggi sjúklinga eða gæði og öryggi lyfsins. Lyfjastofnun metur breytingarnar á sama hátt og hún metur breytingar á klínískum prófunum. Lyfjastofnun skal afgreiða umsókn um breytingu innan 35 daga frá móttöku umsóknar. Sé það ekki gert telst umsókn samþykkt.

12. gr.

Tilkynning umsækjanda.

Umsækjandi skal senda Lyfjastofnun lista yfir þann sjúklingahóp sem notar lyfið af mannúðarástæðum og allar breytingar sem verða á sjúklingahópnum. Umsækjandi skal einnig senda Lyfjastofnun árlega upplýsingar um notkun lyfs af mannúðarástæðum, þ.m.t. uppfært mat á sambandi milli áhættu og ávinnings lyfsins fyrir sjúklingahópinn, aukaverkanir og öll alvarleg atvik sem upp hafa komið við notkun lyfsins, hvort sem er hér á landi eða annars staðar.

Umsækjandi skal innan 30 daga tilkynna Lyfjastofnun ef lyfið fær samþykkt markaðsleyfi innan Evrópska efnahagssvæðisins eða ef klínísk prófun lyfsins er hætt.

13. gr.

Stöðvun notkunar lyfs af mannúðarástæðum

Lyfjastofnun getur stöðvað notkun lyfs af mannúðarástæðum ef alvarleg vandamál koma fram er varða gæði, öryggi eða verkun lyfs þ.m.t. alvarlegar aukaverkanir.

IV. KAFLI

Lagastoð og gildistaka

14. gr.

Lagastoð og gildistaka.

Reglugerð þessi, sem sett er með stoð í 13. gr., sbr. 3. tölul. 1. mgr. 109. gr., lyfjalaga nr. 100/2020, öðlast þegar gildi.

Ákvæði reglugerðar þessarar taka einkum mið af 83. gr. reglugerðar Evrópuþingsins og ráðsins (EB) nr. 726/2004 frá 31. mars 2004 um málsmeðferð Bandalagsins við veitingu leyfa fyrir manna- og dýralyfjum og eftirlit með þeim lyfjum og um stofnun Lyfjastofnunar Evrópu.

Willum Þór Þórsson

Heiða Björg Pálmadóttir.

DRÖG