

Bundesrat

Drucksache 797/98
16.09.98

EU - G

Unterrichtung
durch die Bundesregierung

Vorschlag einer Verordnung (EG) des Europäischen Parlaments und des Rates über Arznei-
mittel für seltene Krankheiten (Orphan Drugs)

KOM(98) 450 endg.; Ratsdok. 10827/98

KEP-AE-Nr.: 982901

Übermittelt vom Bundesministerium für Wirtschaft am 16. September 1998 gemäß § 2 des Gesetzes über die Zusammenarbeit von Bund und Ländern in Angelegenheiten der Europäischen Union (BGBl. I 1993 S. 313 ff.).

Die Vorlage ist von der Kommission der Europäischen Gemeinschaften am 28. Juli 1998 dem Herrn Präsidenten des Rates der Europäischen Union übermittelt worden.

Die Vorlage wird voraussichtlich von der Gruppe "Wirtschaftsfragen" beraten.

Da sich der Vorschlag auf Artikel 100a EGV stützt, findet das Mitentscheidungsverfahren Anwendung. Der Wirtschafts- und Sozialausschuß wird an den Beratungen beteiligt.

Hinweis: vgl. Drucksache 942/93 = AE-Nr. 933633 und
Drucksache 414/97 = AE-Nr. 971696.

BEGRÜNDUNG	2
ERLÄUTERUNG DES VORSCHLAGS	3
Ziel	3
Rechtsgrundlage und Verfahren	3
Subsidiarität und Verhältnismäßigkeit	4
Legislative und administrative Rationalisierung	4
Vereinbarkeit mit anderen politischen Maßnahmen der Gemeinschaft	5
Externe Konsultationen	5
Beurteilung	6
Auswirkungen auf die Unternehmen	6
PRÄSENTATION DES VORSCHLAGS	7
Geltungsbereich	7
Kriterien für die Ausweisung als Orphan Drug	7
Ausschuss für Orphan Drugs	8
Ausweisungsverfahren	9
Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans	9
Gemeinschaftszulassung	9
Alleinvertriebsrecht	10
Sonstige Anreize	11
TEXT DES VORSCHLAGS	12
Artikel 1 - Ziel	14
Artikel 2 - Geltungsbereich und Begriffsbestimmungen	14
Artikel 3 - Kriterien für die Ausweisung als Orphan Drug	14
Artikel 4 - Ausschuss für Orphan Drugs	15
Artikel 5 - Ausweisungsverfahren	15
Artikel 6 - Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans	16
Artikel 7 - Gemeinschaftszulassung	16
Artikel 8 - Alleinvertriebsrecht	17
Artikel 9 - Sonstige Anreize	18
Artikel 10 - Allgemeiner Bericht	18
Artikel 11 - Inkrafttreten	18
FINANZBOGEN	19

BEGRÜNDUNG

In den letzten Jahrzehnten haben Medizin und medizinische Forschung erstaunliche Fortschritte erzielt: Die Sterblichkeit ist gesunken, die Lebenserwartung gestiegen und bestimmte Krankheiten sind ganz und gar verschwunden. Die spektakulärsten Erfolge wurden bei der Vorbeugung von Kinderkrankheiten durch Impfungen, bei der Bekämpfung von Infektionskrankheiten durch Antibiotika und der Entwicklung antiviraler Mittel zur Diagnose, Vorbeugung und Behandlung von Aids erzielt. Auch bei der Diagnose, Vorbeugung und Behandlung von Krebs und kardiovaskulären Krankheiten konnten bedeutende Fortschritte verbucht werden.

Dennoch gibt es weiterhin zahlreiche Krankheiten, die nicht zufriedenstellend behandelt werden können oder für die es keine Arzneimittel oder andere Möglichkeiten der Diagnose, Vorbeugung und Behandlung gibt. Darunter fallen neben den stark verbreiteten, bekannten Krankheiten auch solche, die nur bei sehr wenigen Personen auftreten. Hier ist heute von rund 5.000 solcher Krankheiten die Sprache. Die Industrie zeigt nur wenig Interesse an der Entwicklung der benötigten Arzneimittel, da die pharmazeutische Forschung und Entwicklung so kostspielig sind, daß es praktisch unmöglich ist, unter normalen Bedingungen die Kosten für Entwicklung, Zulassung und Vermarktung einer Behandlung zu amortisieren, indem die wenigen Kranken, die diese Arzneimittel benötigen, mit ihrem Medikament versorgt werden. Deshalb werden diese Arzneimittel im englischen Sprachraum als "Orphan Drugs" (Arzneimittel-Waisenkinder) bezeichnet.

Die Gesellschaft kann aber nicht akzeptieren, daß einige ihrer Mitglieder nicht in den Genuß des medizinischen Fortschritts kommen, weil sie unter einer seltenen Krankheit leiden. Deshalb muß der Staat Anreize schaffen und seine Verwaltungsstrukturen so anpassen, daß es für die betroffenen Patienten einfacher ist, sich mit Arzneimitteln zu versorgen, die die gleichen Anforderungen an Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit erfüllen wie jedes andere Arzneimittel.

In den Vereinigten Staaten wurde 1983 durch den "*Orphan Drug Act*" ein System zur Schaffung von Anreizen für die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten (Orphan Drugs) eingerichtet. Für sämtliche ausgewiesenen Orphan Drugs können Steuergutschriften in Höhe von 50 % der Kosten für die klinische Forschung beantragt werden. Ferner sind für diese Arzneimittel keine Anmeldegebühren für die Zulassung durch die FDA zu entrichten und wird für das erste Arzneimittel, das für ein bestimmtes Anwendungsgebiet zugelassen wird, ein siebenjähriges Alleinvertriebsrecht eingeräumt. Zudem stellt der amerikanische Kongress der FDA für die Entwicklung von Orphan Drugs Zuschüsse in Höhe von rund 20 Mio. USD zur Verfügung. Während der letzten 13 Jahre wurde 837 Arzneimitteln der Status eines Orphan Drug zuerkannt; davon erhielten 323 Medikamente Mittel aus dem Zuschußprogramm. Bis Ende 1997 wurde für 152 Orphan Drugs eine Zulassung erteilt. Heute werden solche Arzneimittel von über 7 Mio. Patienten benutzt.

Der Erfolg des amerikanischen Modells führte dazu, daß andere Länder ähnliche Versuche starteten: In Japan wurde 1995 ein vergleichbares System eingeführt, Singapur folgte 1997 und Australien im Jahr 1998.

In der Europäischen Union haben im letzten Jahrzehnt mehrere Mitgliedstaaten Maßnahmen ergriffen, um die Kenntnisse über seltene Krankheiten sowie deren Nachweis, Diagnose, Vorbeugung und Behandlung zu verbessern. In einigen Rechts- oder Verwaltungsvorschriften wird auf Arzneimittel für seltene Krankheiten oder nicht-rentable

Arzneimittel verwiesen. Dabei handelt es sich aber um Einzelinitiativen, die der Erforschung seltener Krankheiten nie echten Auftrieb vermitteln konnten.

Auf Ebene der Gemeinschaft befaßt sich das Programm "Biomedizin und Gesundheitswesen" (Biomed 2) des Vierten Rahmenprogramms für die Forschung und technologische Entwicklung (1994-1998) mit der Erforschung von Orphan Drugs. Durch dieses Programm werden die Grundlagenforschung, die klinische und die epidemiologische Erforschung seltener Krankheiten gefördert.

Ferner sind seltene Krankheiten prioritärer Bereich für Maßnahmen der Gemeinschaft innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit (KOM(93) 559 endg. und KOM(97) 225 endg.). Die Kommission hat unlängst einen Vorschlag für einen Beschluß des Europäischen Parlaments und des Rates zur Annahme eines Programms der Gemeinschaft für seltene Krankheiten (1999 - 2003) vorgelegt, das verschiedene Maßnahmen umfaßt: Bereitstellung von Informationen, Umgang mit Clustern seltener Krankheiten in einer Bevölkerung und Unterstützung von Patientengruppen.

Die Erfahrungen in den Vereinigten Staaten und Japan zeigen ganz eindeutig, daß eine wirkungsvolle Förderung der Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs im Wesentlichen davon abhängt, daß ein offizielles System zur Anerkennung von Orphan Drugs geschaffen wird, das auch für einen ausreichend langen Zeitraum nach Inverkehrbringen des Arzneimittels ein Alleinvertriebsrecht bietet.

ERLÄUTERUNG DES VORSCHLAGS

Ziel

Ziel dieses Vorschlags ist die Schaffung eines Gemeinschaftsverfahrens für die Ausweisung von Orphan Drugs und von Anreizen für Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringen von Orphan Drugs, insbesondere durch Gewährung eines Alleinvertriebsrechts für die Dauer von zehn Jahren.

Der Vorschlag dient der Vollendung des Binnenmarktes und wurde ins Arbeitsprogramm der Kommission für 1997 aufgenommen.

Rechtsgrundlage und Verfahren

Durch diesen Vorschlag werden harmonisierte Kriterien festgelegt und ein gemeinschaftliches Verfahren für die Ausweisung von Orphan Drugs geschaffen. Ausgewiesene Arzneimittel haben über das zentralisierte Verfahren Zugang zum Binnenmarkt und genießen während eines Zeitraums von zehn Jahren auf dem gesamten Gebiet der Gemeinschaft ein Alleinvertriebsrecht.

Artikel 100 a des EG-Vertrages bietet eine geeignete Rechtsgrundlage für eine solche Maßnahme. Anreize in Form von "Alleinvertriebsrechten" haben sich in den Vereinigten Staaten und Japan als wichtige Faktoren für ein erfolgreiches Vorgehen erwiesen; dieses Konzept wurde auch in Gesprächen mit den Mitgliedstaaten und der Industrie befürwortet. Ein getrenntes Vorgehen der Mitgliedstaaten stünde im Widerspruch zur Richtlinie 65/65/EWG, da die dort geforderte Gemeinschaftsdimension verloren ginge. Zudem würden solche unkoordinierte Maßnahmen zu Hemmnissen für den innergemeinschaftlichen Handel und zu Wettbewerbsverzerrungen führen und somit den Binnenmarkt behindern.

Da dieser Vorschlag das Gesundheitswesen betrifft, ist gemäß Artikel 100 a Absatz 3 von einem hohen Schutzniveau auszugehen. Dies bedeutet, daß das Alleinvertriebsrecht, das bei der Zulassung von Orphan Drugs durch die Gemeinschaft gewährt wird, aberkannt werden kann, wenn die Bedingungen für die Ausweisung nicht mehr gegeben sind oder der Preis des betreffenden Arzneimittels Gewinne ermöglicht, die nicht mehr vertretbar sind. Ferner kann eine zweite Zulassung erteilt werden, wenn der Zulassungsinhaber das Arzneimittel nicht in ausreichenden Mengen zur Verfügung stellen kann oder wenn sich ein anderes Arzneimittel im Hinblick auf die Unbedenklichkeit und Wirksamkeit oder in klinischer Hinsicht als besser erweist als das Arzneimittel, für das ein Alleinvertriebsrecht gewährt wurde.

Subsidiarität und Verhältnismäßigkeit

Der Rat hat in seiner Entschließung vom 20. Dezember 1995 über Orphan-Präparate (ABl. Nr. C 350 vom 30.12.1995, S. 3) die Ansicht vertreten, daß ein "gemeinsames europaweites Konzept hinsichtlich seltener Krankheiten und Orphan-Präparaten [...] sowohl für den Bereich der Epidemiologie und der öffentlichen Gesundheit als auch auf wirtschaftlicher Ebene von Vorteil" ist.

Wie weiter oben bereits ausgeführt, sind Orphan Drugs deshalb problematisch, weil nur wenige Kranke betroffen sind und Behandlungen nur eine schwache Rentabilität versprechen. Ein gemeinsames, konzertiertes Vorgehen auf Gemeinschaftsebene bietet auf der Suche nach einer Lösung für dieses Problem eindeutig bessere Erfolgsaussichten als isolierte Maßnahmen der Mitgliedstaaten.

Zudem könnten bei einer Gemeinschaftsaktion die vorhandenen Instrumente zur Vollendung des Binnenmarktes für Arzneimittel optimal genutzt werden; dies gilt insbesondere für die Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln und das gemeinschaftliche Zulassungsverfahren, die beide durch die Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 geschaffen wurden.

Allerdings sollten die Mitgliedstaaten nicht davon abgehalten werden, ihrerseits einen Beitrag zur Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs zu leisten. Deshalb ist in diesem Vorschlag die Möglichkeit vorgesehen, für als Orphan Drugs ausgewiesene Arzneimittel das gemeinschaftliche Zulassungsverfahren zu nutzen, ohne deshalb nationale Verfahren - insbesondere im Rahmen der gegenseitigen Anerkennung - auszuschließen, wenn diese nach Ansicht der Beteiligten Vorteile bieten. Ferner werden in dem Vorschlag die Mitgliedstaaten ersucht, im Rahmen ihrer Zuständigkeiten Anreize für Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringen von Orphan Drugs zu schaffen.

Legislative und administrative Rationalisierung

Hier wird ein Rechtsakt in Form einer Verordnung vorgeschlagen, die keine Umsetzung in die interne Rechtsordnung der Mitgliedstaaten erfordert und sich deshalb besonders gut für ein Gemeinschaftsverfahren zur Ausweisung von Orphan Drugs und für die Vergabe von Alleinvertriebsrechten eignet.

Für die Ausweisung von Orphan Drugs ist ein einfaches und schnelles Verfahren vorgesehen, das sich auf bereits vorhandene Einrichtungen stützt: die Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln und den Ständigen Arzneimittelausschuß (dessen Stellungnahme jedoch nur dann erforderlich ist, wenn der Vorschlag der Kommission von der Stellungnahme der Agentur abweicht).

Mit der vorgeschlagenen Verordnung wird ein allgemeiner rechtlicher Rahmen geschaffen. Wenn detailliertere Verwaltungsvorschriften erforderlich sind, wird die Kommission diese nach Rücksprache mit den Mitgliedstaaten, der Agentur und den beteiligten Stellen in Form von Leitlinien verabschieden. Dies ist im Arzneimittelbereich die gängige Vorgehensweise.

Vereinbarkeit mit anderen politischen Maßnahmen der Gemeinschaft

Dieser Vorschlag wurde in der Mitteilung der Kommission vom 26. Mai 1997 zu einem *Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit* (KOM(97) 225 endg.) angekündigt. Das Hauptkriterium für die Ausweisung von Orphan Drugs im Sinne dieses Vorschlags entspricht in etwa der Begriffsbestimmung "seltener Krankheiten", die in dem Aktionsprogramm als Anhaltspunkt vorgeschlagen wurde (Prävalenz von weniger als 5 pro 10.000 Personen in der Gemeinschaft).

Ferner werden durch diesen Vorschlag die Anstrengungen des *Vierten Rahmenprogramms im Bereich der Forschung, der technologischen Entwicklung und der Demonstration (1994-1998)* fortgesetzt. Das Programm im Bereich Biomedizin und Gesundheitswesen (Biomed 2) beinhaltet einen Bereich "Forschung für seltene Krankheiten". Dieser umfaßt Forschungstätigkeiten zur Entwicklung von Orphan Drugs und ermöglicht eine Förderung der Grundlagenforschung und der klinischen Forschung über seltene Krankheiten.

Zudem schließt sich dieser Vorschlag an die *Mitteilung der Kommission über die Leitlinien einer Industriepolitik für den Arzneimittelsektor* (KOM(93) 718 endg.) an. Die Schaffung von Anreizen für die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs dient dem Ziel der Innovationsförderung und leistet einen Beitrag zu einem stabilen und vorhersehbaren ordnungspolitischen Umfeld für die Arzneimittelforschung in der Europäischen Union.

Externe Konsultationen

Die beteiligten Stellen wurden umfassend zu diesem Vorschlag befragt.

Im Februar 1995 kam eine Gruppe von Sachverständigen mit Teilnehmern aus dem öffentlichen Sektor, von Hochschulen, der pharmazeutischen Industrie und Patientenorganisationen in Brüssel zusammen, um die Schlußfolgerungen einer von der Kommission in Auftrag gegebenen Studie zu prüfen und auszuwerten.

Im Dezember 1995 verabschiedete der Rat eine Entschließung, in der die Kommission ersucht wurde, die Lage der Orphan Drugs in Europa zu untersuchen und gegebenenfalls Vorschläge im Hinblick auf eine Verbesserung des Zugangs zu Arzneimitteln für Personen mit seltenen Krankheiten vorzulegen.

Im August 1996 haben die Dienststellen der Kommission unter den beteiligten Stellen einen Vorentwurf des Vorschlags für eine Verordnung über Orphan Drugs verteilt. Dieser wurde auf zwei Sitzungen einer Arbeitsgruppe des Arzneimittelausschusses geprüft. Er wurde ferner auf zahlreichen öffentlichen Sitzungen - insbesondere im Rahmen der inter-fraktionellen Arbeitsgruppe "pharmazeutische Erzeugnisse" des Europäischen Parlaments - erläutert und besprochen.

Im Anschluß an diese Konsultationen wurde im Dezember 1996 ein geänderter Vorentwurf erstellt. Dieser fand insbesondere bei den Verbänden der Patienten mit seltenen Krankheiten breite Unterstützung. Diese Verbände haben übrigens im März 1997 eine Koordinierungsstelle auf europäischer Ebene (EURORDIS) gegründet, deren

Aufgabe unter anderem darin besteht, für eine rasche Verabschiedung einer europäischen Verordnung über Orphan Drugs einzutreten.

Beurteilung

In diesem Vorschlag sind verschiedene Beurteilungsmechanismen beschrieben.

Diese beziehen sich im wesentlichen auf das zehn Jahre lang geltende Alleinvertriebsrecht, das den wichtigsten Anreiz für die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs darstellt. Beim Alleinvertriebsrecht handelt es sich um ein besonders delikates Instrument, das geeignete Korrekturmittel erfordert. Deshalb ist in dem Vorschlag die Möglichkeit vorgesehen, das Alleinvertriebsrecht nach sechs Jahren auf Antrag eines Mitgliedstaats aufzuheben, wenn dieser nachweisen kann, daß die Bedingungen für eine Ausweisung als Orphan Drug nicht mehr gegeben sind oder der Preis des betreffenden Arzneimittels Gewinne ermöglicht, die nicht mehr vertretbar sind. Ferner kann ein Alleinvertriebsrecht jederzeit ausgesetzt werden, wenn der Inhaber des Rechts nicht länger in der Lage ist, das Arzneimittel in ausreichenden Mengen zu liefern, oder wenn sich ein anderes Arzneimittel im Hinblick auf die Unbedenklichkeit und Wirksamkeit oder in klinischer Hinsicht als besser erwiesen hat als das Arzneimittel, für das das Alleinvertriebsrecht vergeben wurde.

Ferner ist in dem Vorschlag vorgesehen, daß die Kommission sechs Jahre nach Schaffung des Systems dessen Anwendung überprüft und einen Bericht über die gemachten Erfahrungen veröffentlicht.

Auswirkungen auf die Unternehmen

Dieser Vorschlag wird allen Unternehmen, die in der pharmazeutischen Forschung und Entwicklung tätig sind, zugute kommen, und zwar unabhängig von ihrer Größe, ihrem Standort und ihrem Tätigkeitsbereich.

Allerdings sollte darauf hingewiesen werden, daß in den Vereinigten Staaten, wo seit über zwölf Jahren ein ähnliches System gehandhabt wird, die Mehrzahl der Anträge auf eine Ausweisung als Orphan Drug von kleinen Unternehmen kommt, die sich auf die Bereiche Biotechnologie und Gentechnik spezialisiert haben (die übergroße Mehrheit der seltenen Krankheiten sind Entwicklungsstörungen genetischer oder anderer Art).

Die Verabschiedung des Vorschlags wird in der Industrie keinerlei Anpassungsmaßnahmen erfordern, da es sich um ein System von Anreizen handelt, die die Unternehmen selbstverständlich ignorieren können.

Der Vorschlag dürfte die pharmazeutische Forschung und Entwicklung in der Gemeinschaft fördern, was sich im Hinblick auf die Schaffung von Arbeitsplätzen (insbesondere für hochqualifizierte Arbeitnehmer), die Tötigung von Investitionen und Neugründungen von Unternehmen nur positiv auswirken kann.

Der Vorschlag enthält keine besonderen Bestimmungen für die kleinen und mittleren Unternehmen.

PRÄSENTATION DES VORSCHLAGS

Geltungsbereich

Das vorgeschlagene System gilt für Humanarzneimittel im Sinne der Richtlinie 65/65/EWG. Hierzu gehören alle Stoffe oder Stoffzusammensetzungen, die zu Zwecken der Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung von Krankheiten an Menschen verabreicht werden können. Das heißt, dieses System gilt auch für Impfstoffe.

Diese Begriffsbestimmung schließt medizinische Geräte und Zusätze zur Ernährung aus. Diese Erzeugnisse können bei der Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung von seltenen Krankheiten zwar eine Rolle spielen, aber die Anreize, die durch diesen Vorschlag geschaffen werden, können aufgrund ihrer Art nur für solche Arzneimittel gelten, die zugelassen werden müssen.

Tierarzneimittel sind ebenfalls ausgeschlossen, was angesichts des Ziels des Vorschlags leicht nachvollziehbar ist. Obwohl sich bei der Tiergesundheit - insbesondere bei den sogenannten kleineren Arten - das gleiche Problem stellt, kann dies jedoch nicht im Rahmen dieses Vorschlags behandelt werden.

Kriterien für die Ausweisung als Orphan Drug

Für die Ausweisung von Orphan Drugs werden in der Regel zwei Arten von Kriterien herangezogen: epidemiologische Kriterien (Prävalenz bzw. Inzidenz innerhalb einer bestimmten Bevölkerung) und wirtschaftliche Kriterien (mangelnde Rentabilität eines Arzneimittels für die betreffende Krankheit). Diese beiden Kriterien schließen sich gegenseitig nicht unbedingt aus und können bei Bedarf kombiniert werden.

Die epidemiologischen Kriterien bieten eindeutige Vorteile, da sie zum Zeitpunkt der Ausweisung des Arzneimittels eine objektivere Bewertung ermöglichen als wirtschaftliche Kriterien. Die Frage, ob sich Investitionen, die bei der Entwicklung eines Arzneimittels bereits viele Jahre vor dessen tatsächlichem Inverkehrbringen beischlossen werden müssen, auszahlen, kann eigentlich nur spekulativ beantwortet werden.

In den Vereinigten Staaten wurde zunächst ein wirtschaftliches Kriterium festgelegt (*Orphan Drug Act 1983*): Es mußte nachgewiesen werden, daß realistischere nicht davon ausgegangen werden konnte, daß die Kosten für die Entwicklung und den Vertrieb eines Arzneimittels durch dessen Verkauf in den Vereinigten Staaten gedeckt würden. Da sich dieses System nicht bewährte, wurde es 1984 vom Kongreß geändert und um ein epidemiologisches Kriterium erweitert: Seither kann ein Arzneimittel ausgewiesen werden, wenn nachgewiesen wird, daß die Krankheit nicht mehr als 200.000 Personen betrifft oder realistischere nicht davon ausgegangen werden kann, daß die Entwicklungskosten gedeckt werden. Von 1984 bis 1992 wurden in den Vereinigten Staaten Orphan Drugs ausschließlich auf der Grundlage des epidemiologischen Kriteriums ausgewiesen.

Der einzige Einwand, der gelegentlich gegen die Verwendung epidemiologischer Kriterien vorgebracht wird, basiert auf der Feststellung, daß sich unter den Arzneimitteln, die in den Vereinigten Staaten ausgewiesen wurden, einige letztendlich als (sehr) rentabel erwiesen haben. Dieser Fall ist jedoch äußerst selten aufgetreten (etwa 1 % der Ausweisungen!), was darauf schließen läßt, daß das in den Vereinigten Staaten gehandhabte epidemiologische Kriterium eine angemessene Auswahl der Arzneimittel, die als Orphan Drugs ausgewiesen werden sollen, ermöglicht.

Deshalb wird vorgeschlagen, ein epidemiologisches Kriterium zu verwenden, das auf der Prävalenz der betreffenden Krankheit basiert. In der obengenannten Mitteilung über ein Gemeinschaftsprogramm für seltene Krankheiten hat die Kommission vorgeschlagen, seltene Krankheiten als lebensbedrohende oder chronisch belastende Krankheiten zu definieren, deren Prävalenz so niedrig ist, daß sie besondere kombinierte Anstrengungen erfordern, um eine signifikante pränatale und frühe Morbidität und Mortalität bzw. eine erhebliche Einschränkung der Lebensqualität und der sozioökonomischen Möglichkeiten der betroffenen Patienten zu vermeiden. Als Richtwert für eine niedrige Prävalenz wird ein Wert von weniger als 5 pro 10.000 Personen angegeben, der aus Kohärenzgründen in diesem Vorschlag übernommen wird. Dieser Wert liegt niedriger als in den Vereinigten Staaten (7,5 pro 10.000) und etwas höher als in Japan (4 pro 10.000). Die Prävalenz wird innerhalb der Gemeinschaft ermittelt, so daß Arzneimittel zur Vorbeugung oder Behandlung von Krankheiten, die in der dritten Welt stark verbreitet sind (z.B. tropische Krankheiten), aber in unseren Breiten selten auftreten, ebenfalls von diesem neuen System profitieren können.

Ferner sollte die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln gefördert werden, die für die Diagnose, Vorbeugung und Behandlung von Krankheiten bestimmt sind, die genaugenommen zwar nicht in die Kategorie der seltenen Krankheiten fallen, bisher aber noch nicht richtig vom Fortschritt in der Medizin profitiert haben, nämlich lebensbedrohende oder zu Invalidität führende übertragbare Krankheiten. Diesen Arzneimitteln sollte, selbst wenn die Prävalenz bei über 5 Personen pro 10.000 liegt, der Status von Orphan Drugs zuerkannt werden, sofern nachgewiesen werden kann, daß die Arzneimittel ohne die Anreize, die aufgrund dieses Status geboten werden, nicht entwickelt würden.

Wenn festgestellt wird, daß der Vertrieb eines Orphan Drug sich als rentabler erweist als erwartet, kann jeder Mitgliedstaat sechs Jahre nach Erteilung der Zulassung die Rücknahme des Alleinvertriebsrechts beantragen (siehe unter "Alleinvertriebsrecht").

Ausschuß für Orphan Drugs

Bei der Prüfung der Anträge auf Ausweisung eines Arzneimittels sollte zunächst auf vorhandene Einrichtungen zurückgegriffen werden, nämlich die Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln, die durch die Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 geschaffen wurde. Diese verfügt über die Infrastruktur und die nötigen Ressourcen für die Erfüllung einer solchen Aufgabe.

Die Prüfung selbst könnte zweifellos dem Ausschuß für Arzneimittel überlassen werden, der sich in der Agentur um sämtliche wissenschaftliche Fragen der Beurteilung von Humanarzneimitteln kümmert. Diese Lösung hätte jedoch auch bestimmte Nachteile. Erstens hätte ein einziger Ausschuß die Aufgabe, sich zu Anträgen zur Ausweisung von Orphan Drugs zu äußern und eine Stellungnahme hinsichtlich der entsprechenden Zulassungsanträge abzugeben. Zweitens hat der Arzneimittelausschuß bereits jetzt eine erhebliche Arbeitsbelastung.

Deshalb wäre es vorzuziehen, innerhalb der Agentur - die die Sekretariatsgeschäfte übernehmen würde - einen neuen Ausschuß zu schaffen, der sich aus Personen zusammensetzt, die von den Mitgliedstaaten benannt und aufgrund ihrer Funktion und ihrer Erfahrung mit seltenen Krankheiten ausgewählt werden. Dieser Ausschuß würde durch drei von der Kommission benannte Vertreter der Patientenverbände ergänzt sowie durch drei Personen, die Kommission auf Empfehlung der Agentur ernannt und die sich um die Zusammenarbeit mit dem Arzneimittelausschuß kümmern werden. Die Schaffung eines solchen Ausschusses, dem Vertreter von Patientenverbänden angehören, wurde sowohl von Vertretern der Mitgliedstaaten, als auch im Rahmen der Intergruppe „Pharmazeutische Produkte“ des Europäischen Parlaments befürwortet.

Ausweisungsverfahren

Das Verfahren für die Ausweisung der Arzneimittel sollte flexibel sein und eine rasche Abwicklung ermöglichen. Die Bearbeitung der Anträge erfolgt durch das Sekretariat der Agentur, so daß der Ausschuß für Orphan Drugs sich innerhalb von 60 Tagen nach Erhalt des Antrags durch das Sekretariat dazu äußern kann.

Die Ausweisung von Orphan Drugs hat bedeutende rechtliche Folgen, und zwar nicht nur für den Investor, sondern auch für Dritte. Sie ist deshalb Gegenstand einer Entscheidung eines Organs der Gemeinschaft, in diesem Fall der Kommission. Diese verfügt über 30 Tage, um diese Entscheidung zu treffen. Wenn die Kommission in Ausnahmefällen beabsichtigt, eine Entscheidung zu treffen, die von der Stellungnahme des Ausschusses für Orphan Drugs abweicht, ist das Verfahren des Ständigen Ausschusses für Humanarzneimittel anwendbar (Verfahren vom Typ IIIa).

Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans

Bei der Entwicklung von Orphan Drugs treten ganz spezifische Probleme auf, die nicht außer acht gelassen werden dürfen. Um nur ein Beispiel zu nennen, ist es meist sehr schwierig, Patienten für klinische Prüfungen zu finden, da diese Arzneimittel zwangsläufig ja nur eine sehr begrenzte Anzahl von Patienten betreffen.

Deshalb ist in dem Vorschlag die Möglichkeit vorgesehen, daß der Investor bei der Erstellung seines Prüfplans, den Folgemaßnahmen der klinischen Prüfungen sowie bei allen weiteren Fragen im Zusammenhang mit der Erstellung der Zulassungsunterlagen die Agentur um Unterstützung ersuchen kann.

Gemeinschaftszulassung

Eine Zulassung durch die Gemeinschaft (die im Rahmen des sogenannten "zentralisierten Verfahrens" erteilt wird) ist die einfachste und schnellste Möglichkeit, um ein Arzneimittel auf dem gesamten Gebiet der Gemeinschaft in den Verkehr zu bringen. Dieses Verfahren sollte in vereinfachter Form auch Orphan Drugs offenstehen. Dafür sind zwei Maßnahmen vorgesehen.

Erstens sollte die Person, die eine Zulassung für ein Orphan Drug beantragt, von der Verpflichtung befreit werden nachzuweisen, daß das Arzneimittel die Bedingungen des Anhangs der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 erfüllt. In der Mehrzahl der Fälle wird dies völlig unproblematisch sein, da es sich entweder um ein Arzneimittel aus der Biotechnologie handelt (bei der Mehrzahl der seltenen Krankheiten handelt es sich um Entwicklungsstörungen genetischen oder anderen Ursprungs, so daß ihre Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung in der Regel gentechnische Maßnahmen erfordern) oder weil das

Arzneimittel aus therapeutischer Sicht eine bedeutende Innovation darstellt. Die einfachste Lösung besteht jedenfalls darin, einem Orphan Drug volles Zugangsrecht zu dem zentralisierten Verfahren zu gewähren.

Zweitens ist zu berücksichtigen, daß bei Inanspruchnahme des zentralisierten Verfahrens gemäß der Verordnung (EWG) Nr. 297/95 eine Gebühr an die Agentur zu entrichten ist. Bei Arzneimitteln, bei denen von einer geringen Rentabilität ausgegangen wird, kann diese Gebühr ein Hindernis darstellen. Patienten mit einer seltenen Krankheit haben aber das Recht auf Arzneimittel mit der gleichen Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit wie alle anderen Arzneimittel, und hier sollten keinerlei Zugeständnisse gemacht werden. Deshalb muß die Möglichkeit geschaffen werden, Orphan Drugs ganz oder teilweise von der Gebühr zu befreien und die Agentur (d. h. auch die Berichterstatter und Sachverständigen, die mit der Beurteilung beauftragt sind) für die erwiesenen Dienste zu bezahlen. Deshalb wird vorgeschlagen, im Haushalt der Gemeinschaft einen jährlichen Zuschuß vorzusehen, durch den Gebührenbefreiungen für Orphan Drugs (siehe Finanzbogen) finanziert werden.

Auch wenn das zentralisierte Verfahren Orphan Drugs offensteht, heißt dies noch nicht, daß dieses Verfahren die einzige Möglichkeit ist. Eine solche Verpflichtung stünde im Widerspruch zum Ziel dieses Vorschlags und zum Prinzip der Verhältnismäßigkeit. Wenn ein Investor aus welchem Grund auch immer das dezentralisierte Verfahren (gegenseitige Anerkennung) vorzieht, muß ihm diese Möglichkeit geboten werden.

Alleinvertriebsrecht

Das Alleinvertriebsrecht gilt unangefochten als zentrales Element und als Voraussetzung für jedes System von Anreizen für die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs.

Gemäß dem beigegeführten Vorschlag werden Alleinvertriebsrechte nur dann zuerkannt, wenn das Arzneimittel erstens von der Gemeinschaft als Orphan Drug ausgewiesen und zweitens durch die Gemeinschaft zugelassen wurde.

Dieses Recht verhindert, daß zu einem späteren Zeitpunkt durch die Gemeinschaft oder einen Mitgliedstaat eine Zulassung für das gleiche Erzeugnis (d.h. den gleichen Wirkstoff) und das gleiche therapeutische Anwendungsgebiet erteilt wird. Das Inverkehrbringen eines anderen Erzeugnisses für das gleiche therapeutische Anwendungsgebiet wird nicht behindert, da dies ein ungerechtfertigtes Hindernis für die therapeutische Innovation und eine Einschränkung der Rechte Dritter wäre und zudem den Interessen der Patienten zuwiderliefe. Die Entscheidung über die Ähnlichkeit zweier Arzneimittel ist natürlich eine schwierige Frage, insbesondere bei Makromolekülen (Proteinen) mit minimalen Abweichungen in der Sequenz der Aminosäuren. Wenn die Kommission in Rücksprache mit den Mitgliedstaaten und der Agentur entsprechende Leitlinien erstellt, könnten sich die Erfahrungen, die diesbezüglich in den Vereinigten Staaten gemacht wurden, als äußerst nützlich erweisen.

Die alleinige Ausweisung als Orphan Drug verleiht noch keine Alleinvertriebs- oder Vorrangsrechte. Das heißt, daß vorbehaltlich der Anwendung anderer Rechte des geistigen Eigentums verschiedenen Investoren prinzipiell die Ausweisung für das gleiche Erzeugnis/Anwendungsgebiet erteilt werden kann. Der Investor, der als erster eine gemeinschaftliche Zulassung für das Erzeugnis/Anwendungsgebiet erhält, wird andere daran hindern, zu einem späteren Zeitpunkt für das gleiche Erzeugnis/ Anwendungsgebiet eine gemeinschaftliche oder nationale Zulassung zu erhalten.

Es wird vorgeschlagen, das Alleinvertriebsrecht für die Dauer von 10 Jahren zu gewähren (7 Jahre in den Vereinigten Staaten); in der Gemeinschaft entspricht dies dem Zeitraum für den Schutz von Daten aus Versuchsergebnissen, die der Zulassungsinhaber zur Unterstützung seines Antrags vorlegt. Diese Zeitdauer kann auf Antrag eines Mitgliedstaats allerdings auf 6 Jahre verkürzt werden, wenn dieser nachweisen kann, daß das Kriterium bzw. die Kriterien für die Ausweisung nicht mehr erfüllt sind (Prävalenz niedriger als 5 pro 10.000, fehlende Rentabilität eines Arzneimittels für schwere oder zu Invalidität führende übertragbare Krankheiten), oder wenn der Zulassungsinhaber für das betreffende Erzeugnis einen Preis verlangt, der nicht mehr vertretbar ist.

Das Alleinvertriebsrecht ist ein wichtiger Anreiz für Investitionen in wenig rentable Forschungstätigkeiten, darf aber nicht den Interessen der Patienten und der öffentlichen Gesundheit zuwiderlaufen. Das Alleinvertriebsrecht kann ausgesetzt werden, wenn der Inhaber dieses Rechts nicht mehr in der Lage ist, das Arzneimittel in ausreichenden Mengen zu liefern, oder wenn ein anderer Antragsteller nachweisen kann, daß seine eigene Entwicklung mehr Sicherheit oder Wirksamkeit bietet. Die oben angesprochenen Leitlinien der Kommission werden auch auf diese Fragen eingehen. Die Aussetzung eines Alleinvertriebsrechts ist nicht mit dessen Aberkennung gleichzusetzen; eine Zulassung des gleichen Arzneimittels für das gleiche Anwendungsgebiet wird auch danach noch verhindert.

Sonstige Anreize

Das Alleinvertriebsrecht ist zweifellos der wichtigste, sollte aber nicht der einzige Anreiz für die Entwicklung von Orphan Drugs sein. Die Gemeinschaft und die Mitgliedstaaten müssen in ihren jeweiligen Zuständigkeitsbereichen noch mehr tun, um - in erster Linie, aber nicht ausschließlich - die Entwicklung von Arzneimitteln zu stimulieren, die in der Gemeinschaft als Orphan Drugs ausgewiesen werden können. Für die Gemeinschaft bietet sich hier die Förderung der Forschung an. Auf nationaler Ebene dagegen sind die wirksamsten Instrumente wohl eher fiskale Anreize (insbesondere in Form von Steuergutschriften).

Die Kommission wird auf der Grundlage der Informationen, die ihr die Mitgliedstaaten übermitteln werden, ein detailliertes Verzeichnis aller vorhandenen Anreize erstellen.

WORTLAUT DES VORSCHLAGS

Vorschlag für eine Verordnung (EG) des Europäischen Parlaments und des Rates über Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drugs)

DAS EUROPÄISCHE PARLAMENT UND DER RAT DER EUROPÄISCHEN
UNION -

gestützt auf den Vertrag zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft, insbesondere auf
Artikel 100 a,

auf Vorschlag der Kommission,

nach Stellungnahme des Wirtschafts- und Sozialausschusses,

im Einklang mit dem Verfahren des Artikels 189 b EG-Vertrag,

in Erwägung nachstehender Gründe:

- 1) Bestimmte Krankheiten treten so selten auf, daß die Kosten für die Entwicklung und das Inverkehrbringen eines Arzneimittels für die Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung der Erkrankung durch den zu erwartenden Umsatz des Mittels nicht gedeckt werden würden. Die pharmazeutische Industrie ist deshalb nicht bereit, das Arzneimittel unter normalen Marktbedingungen zu entwickeln, weshalb diese Arzneimittel im englischen Sprachraum als "Orphan Drugs" (d.h. als "Waisenkinder" unter den Arzneimitteln) bezeichnet werden.
- 2) Patienten, die unter seltenen Krankheiten leiden, sollten dasselbe Recht auf gute Behandlung haben wie andere Patienten auch. Daher müssen Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringen geeigneter Arzneimittel durch die pharmazeutische Industrie gefördert werden. Anreize für die Entwicklung von Orphan Drugs bestehen in den USA seit 1983 und in Japan seit 1993.
- 3) In der Europäischen Union gab es auf einzelstaatlicher oder gemeinschaftlicher Ebene bisher nur vereinzelte Maßnahmen, um die Entwicklung von Orphan Drugs zu fördern. Entsprechende Maßnahmen sollten vorzugsweise auf Gemeinschaftsebene erfolgen, um für diese Erzeugnisse einen möglichst großen Markt zu erschließen und eine Aufsplitterung der begrenzten Mittel zu vermeiden. Maßnahmen auf Gemeinschaftsebene sind unkoordinierten Maßnahmen der Mitgliedstaaten vorzuziehen, da diese zu Wettbewerbsverzerrungen und Hemmnissen für den innergemeinschaftlichen Handel führen können.
- 4) Es sollte klare und eindeutige Kriterien dafür geben, welche Orphan Drugs für Anreize in Frage kommen. Dafür dürfte die Einführung eines offenen und transparenten Gemeinschaftsverfahrens für die Ausweisung von Arzneimitteln als Orphan Drugs der geeignete Weg sein.
- 5) Es sollten objektive Kriterien für die Ausweisung festgelegt werden. Bei diesen Kriterien sollte man sich auf die Prävalenz der Erkrankung stützen, für die eine Diagnose, Vorbeugung oder Therapie benötigt wird. Eine Prävalenz von nicht mehr als fünf von zehntausend Personen wird allgemein als geeigneter Schwellenwert angesehen. Ein Arzneimittel für eine lebensbedrohende oder zu schwerer Invalidität führende übertragbare Krankheit sollte auch dann in Frage kommen, wenn die Prävalenz bei über fünf von Zehntausend liegt.
- 6) Ein Ausschuß von Sachverständigen, die von den Mitgliedstaaten aufgrund ihrer Erfahrungen auf dem Gebiet der Erforschung oder Behandlung solcher Erkrankungen

benannt werden, sollte eingesetzt werden, um die Anträge auf Ausweisung von Arzneimitteln als Orphan Drugs zu prüfen. Diesem Ausschuss sollten außerdem drei Vertreter von Patientenorganisationen, die von der Kommission bestimmt werden, und drei ebenfalls von der Kommission auf Verlangen der Agentur zu benennende Personen, angehören. Es sollte der Agentur obliegen, eine angemessene Koordination zwischen dem Ausschuss für Orphan Drugs und dem Ausschuss für Arzneimittel sicherzustellen.

- 7) Patienten mit solchen Erkrankungen haben denselben Anspruch auf Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit von Arzneimitteln wie andere Patienten. Orphan Drugs sollten daher dem normalen Bewertungsverfahren unterliegen. Für Investoren von Orphan Drugs sollte auch die Möglichkeit einer Gemeinschaftszulassung vorgesehen sein. Um die Erteilung einer solchen Zulassung zu erleichtern, sollte man zumindest teilweise auf die der Agentur zu entrichtenden Gebühren verzichten. Der dadurch für die Agentur entstehende Verlust an Einnahmen sollte durch Mittel aus dem Haushalt der Europäischen Gemeinschaften ausgeglichen werden.
- 8) Die Erfahrungen in den Vereinigten Staaten und in Japan haben gezeigt, daß für die Industrie der stärkste Anreiz zu Investitionen in die Entwicklung und das Inverkehrbringen von Orphan Drugs die Aussicht auf ein mehrjähriges Alleinvertriebsrecht ist, wodurch sich die Investitionen teilweise decken lassen. Der Datenschutz gemäß Artikel 4 Absatz 8 Buchstabe a Ziffer iii der Richtlinie 65/65/EWG des Rates reicht diesbezüglich als Anreiz nicht aus. Das Alleinvertriebsrecht sollte jedoch lediglich das Anwendungsgebiet betreffen, für das ein Arzneimittel als Orphan Drug ausgewiesen wurde. Im Interesse der Patienten sollte das für Orphan Drugs gewährte Alleinvertriebsrecht nicht ausschließen, daß ein ähnliches Arzneimittel in Verkehr gebracht werden kann, das hinsichtlich der Unbedenklichkeit, Wirksamkeit oder anderer klinischer Aspekte überlegen ist.
- 9) Investoren von gemäß dieser Verordnung ausgewiesenen Orphan Drugs sollten in den vollen Genuß aller von der Gemeinschaft oder den Mitgliedstaaten geschaffenen Anreize kommen können, damit die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln für die Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung seltener Krankheiten gefördert wird.
- 10) Durch das spezifische Programm Biomed 2 des Vierten Rahmenprogramms für Forschung und technologische Entwicklung (1994-1998) wird die Erforschung von Behandlungsmöglichkeiten für seltene Krankheiten gefördert; dazu gehören die Schaffung einer Methodologie für Schnellprogramme für die Entwicklung von Orphan Drugs und die Erstellung von Registern der in Europa verfügbaren Orphan Drugs. Die in diesem Rahmen bereitgestellten Mittel dienen der Förderung einer grenzüberschreitenden Zusammenarbeit bei der Grundlagenforschung und der klinischen Forschung auf dem Gebiet seltener Krankheiten. Die Erforschung seltener Krankheiten bleibt auch weiterhin ein prioritäres Anliegen der Kommission und wurde in ihren Vorschlag für das Fünfte Rahmenprogramm für Forschung und technologische Entwicklung (1998 - 2002) aufgenommen. Die vorliegende Verordnung soll den rechtlichen Rahmen vorgeben, der eine schnelle und wirkungsvolle Umsetzung der Ergebnisse dieser Forschung erlaubt.
- 11) Seltene Krankheiten wurden im Aktionsrahmen im Bereich der öffentlichen Gesundheit (KOM(93) 559 endg.) als vorrangiges Gebiet für Gemeinschaftsaktionen genannt. Die Kommission teilte in ihrer Mitteilung über ein Aktionsprogramm der Gemeinschaft über seltene Krankheiten ihre Entscheidung mit, diese Krankheiten innerhalb dieses Aktionsrahmens (KOM(97) 225 endg.) als vorrangig einzustufen. Die

Kommission hat nun im Zusammenhang mit diesem Aktionsrahmen einen Vorschlag für eine Entscheidung des Europäischen Parlaments und des Rates zur Festlegung eines Aktionsprogramms der Gemeinschaft 1999-2003 über seltene Krankheiten, einschließlich Aktionen zur Beschaffung von Informationen, zur Behandlung von Clustern seltener Krankheiten in einer Bevölkerung und zur Unterstützung einschlägiger Patientenorganisationen, vorgelegt. Die vorliegende Verordnung soll eine der vorrangigen Aktionen dieses Programmes verwirklichen -

HABEN FOLGENDE VERORDNUNG ERLASSEN:

Artikel 1

Ziel

Ziel dieser Verordnung ist es, ein Gemeinschaftsverfahren für die Ausweisung von Arzneimitteln als Orphan Drugs festzulegen und Anreize für die Erforschung, Entwicklung und das Inverkehrbringen von als Orphan Drugs ausgewiesenen Arzneimitteln zu schaffen.

Artikel 2

Geltungsbereich und Begriffsbestimmungen

Im Sinne dieser Verordnung gelten folgende Begriffsbestimmungen:

- *Arzneimittel*: Humanarzneimittel gemäß der Begriffsbestimmung in Artikel 2 der Richtlinie 65/65/EWG;
- *Orphan Drug*: ein gemäß den Bestimmungen dieser Verordnung ausgewiesenes Arzneimittel;
- *Investor*: eine in der Gemeinschaft niedergelassene juristische oder natürliche Person, die beantragt, daß ein Arzneimittel als Orphan Drug ausgewiesen wird;
- *Agentur*: die Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln.

Artikel 3

Kriterien für die Ausweisung als Orphan Drug

1. Ein Arzneimittel wird als Orphan Drug ausgewiesen, wenn der Investor nachweisen kann, daß das Arzneimittel für die Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung einer Krankheit bestimmt ist, von der zum Zeitpunkt der Antragstellung in der Gemeinschaft weniger als fünf von zehntausend Personen betroffen sind, und daß in der Gemeinschaft noch keine zufriedenstellende Methode für die Diagnose, Vorbeugung oder Behandlung der betreffenden Krankheit zugelassen wurde bzw. - sofern eine solche Methode besteht - realistischerweise davon ausgegangen werden kann, daß das Arzneimittel sonstigen Mitteln hinsichtlich der Unbedenklichkeit und Wirksamkeit oder anderer klinischer Aspekte überlegen ist.
2. Unbeschadet von Absatz 1 kann ein Arzneimittel auch als Orphan Drug ausgewiesen werden, wenn der Investor nachweisen kann, daß das Arzneimittel für eine lebensbedrohende oder zu schwerer Invalidität führende übertragbare Krankheit in der Gemeinschaft bestimmt ist und daß das Inverkehrbringen des Arzneimittels in der Gemeinschaft ohne Anreize vermutlich nicht genügend Gewinn bringen würde, um die notwendigen Investitionen zu rechtfertigen.
3. Die Kommission erstellt im Benehmen mit den Mitgliedstaaten, der Agentur und den interessierten Parteien ausführliche Leitlinien für die Anwendung dieses Artikels.

Artikel 4

Ausschuß für Orphan Drugs

1. Es wird ein Ausschuß für Orphan Drugs, im folgenden 'der Ausschuß' genannt, eingesetzt.
2. Der Ausschuß erhält folgende Aufgaben:
 - a) Prüfung von Anträgen auf Ausweisung von Arzneimitteln als Orphan Drugs, die ihm gemäß den Bestimmungen dieser Verordnung vorgelegt werden;
 - b) nach Aufforderung der Kommission Beratung derselben bei der Ausarbeitung und Festlegung einer Europäischen Politik für Orphan Drugs;
 - c) Unterstützung der Kommission bei der internationalen Zusammenarbeit auf dem Gebiet der Orphan Drugs, insbesondere mit den USA und Japan; dies erfolgt im Benehmen mit Selbsthilfegruppen der Patienten.
3. Der Ausschuß setzt sich wie folgt zusammen: Jeder Mitgliedstaat benennt ein Mitglied, die Kommission benennt drei Mitglieder als Vertreter der Patientenorganisationen und drei Mitglieder auf Empfehlung der Agentur. Die Ausschußmitglieder werden für eine erneuerbare Mandatszeit von drei Jahren ernannt. Die Mitglieder werden unter Berücksichtigung ihrer Aufgaben und Erfahrungen bei der Behandlung oder Erforschung seltener Krankheiten ausgewählt.
4. Der Ausschuß wählt seinen Vorsitzenden für drei Jahre. Eine einmalige Wiederwahl ist möglich.
5. Die Vertreter der Kommission und der Verwaltungsdirektor der Agentur oder dessen Vertreter können an allen Sitzungen des Ausschusses teilnehmen.
6. Die Agentur übernimmt die Sekretariatsgeschäfte des Ausschusses.

Artikel 5

Ausweisungsverfahren

1. Um zu erreichen, daß Arzneimittel als Orphan Drugs ausgewiesen werden, legt der Investor der Agentur einen entsprechenden Antrag vor.
2. Dem Antrag sind folgende Angaben und Unterlagen beizufügen:
 - a) Name oder Firma und ständige Anschrift des Investors,
 - b) qualitative und quantitative Angaben zum Arzneimittel,
 - c) vorgeschlagenes Anwendungsgebiet,
 - d) Nachweis, daß die Bestimmungen von Artikel 3 Absatz 1 oder 2 Anwendung finden.
3. Die Kommission erstellt im Benehmen mit den Mitgliedstaaten, der Agentur und den interessierten Parteien ausführliche Leitlinien für Form und Inhalt der Anträge auf Ausweisung von Arzneimitteln als Orphan Drugs.
4. Die Agentur prüft die Gültigkeit des Antrags und legt dem Ausschuß die Ergebnisse in Form eines Kurzberichts vor. Sie kann den Investor auffordern, zusätzliche Angaben und Unterlagen zu übermitteln.
5. Die Agentur stellt sicher, daß der Ausschuß innerhalb von 60 Tagen nach Erhalt eines gültigen Antrags eine Stellungnahme abgibt.

6. Der Ausschuß bemüht sich darum, bei seinen Stellungnahmen einen Konsens der Mitglieder zu erzielen. Gelingt dies nicht, entspricht die Stellungnahme dem Standpunkt der Mehrheit der Mitglieder. Bei der Abgabe der Stellungnahme kann das schriftliche Verfahren angewendet werden.
7. Entspricht der Antrag nach Auffassung des Ausschusses nicht den Kriterien gemäß Artikel 3 Absatz 1, teilt die Agentur dies dem Investor unverzüglich mit. Der Investor kann innerhalb von 30 Tagen nach Erhalt der Stellungnahme unter Angabe ausführlicher Gründe Einwände erheben, die die Agentur an den Ausschuß weiterleitet. Der Ausschuß prüft auf seiner nächsten Sitzung eine etwaige Revision seiner Stellungnahme.
8. Die Agentur übermittelt die endgültige Stellungnahme des Ausschusses unverzüglich der Kommission, die innerhalb von 30 Tagen nach Erhalt der Stellungnahme eine Entscheidung verabschiedet. Sollte der Entscheidungsentwurf ausnahmsweise nicht im Einklang mit der Stellungnahme des Ausschusses stehen, wird die Entscheidung nach dem Verfahren des Artikels 72 der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 verabschiedet. Die Entscheidung wird dem Investor mitgeteilt und der Agentur und den zuständigen Behörden der Mitgliedstaaten notifiziert.
9. Als Orphan Drugs ausgewiesene Arzneimittel werden in das *Gemeinschaftsregister für Orphan Drugs* eingetragen.

Artikel 6

Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans

1. Der Investor von Orphan Drugs kann, bevor er einen Zulassungsantrag stellt, bei der Agentur Auskünfte über die Durchführung der verschiedenen Versuche und Prüfungen einholen, die erforderlich sind, um die Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit des Arzneimittels nachzuweisen.
2. Die Agentur legt ein Verfahren für die Entwicklung von Orphan Drugs fest, das insbesondere folgende Aspekte abdeckt:
 - a) Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans und den Folgemaßnahmen der klinischen Prüfungen;
 - b) ordnungsrechtliche Unterstützung bei der Definition des Inhalts des Zulassungsantrags gemäß Artikel 6 der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 des Rates.

Artikel 7

Gemeinschaftszulassung

1. Die für das Inverkehrbringen eines Orphan Drug zuständige Person kann beantragen, daß die Zulassung des betreffenden Arzneimittels gemäß den Bestimmungen der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 von der Gemeinschaft erteilt wird, ohne daß sie nachweisen muß, daß das Arzneimittel den Bedingungen des Anhangs der genannten Verordnung entspricht.
2. Zusätzlich zu dem Zuschuß gemäß Artikel 57 der Verordnung (EWG) NR. 2309/93 erhält die Agentur von der Gemeinschaft jährlich einen speziellen Zuschuß. Dieser dient der Agentur ausschließlich dazu, eine vollständige oder teilweise Befreiung von den gemäß den Gemeinschaftsbestimmungen aufgrund der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 zu entrichtenden Gebühren zu gewähren. Ein ausführlicher Bericht über die

Verwendung dieses speziellen Zuschusses wird vom Verwaltungsdirektor der Agentur jährlich vorgelegt. Etwaige Überschüsse werden jeweils auf das folgende Jahr übertragen und von dem speziellen Zuschuß für das nachfolgende Jahr abgezogen.

3. Für Orphan Drugs erteilte Zulassungen gelten ausschließlich für therapeutische Anwendungsgebiete gemäß den Kriterien von Artikel 3. Die Möglichkeit, außerhalb des Geltungsbereichs dieser Verordnung eine getrennte Zulassung für andere Anwendungsgebiete zu beantragen, bleibt davon unberührt.

Artikel 8

Alleinvertriebsrecht

1. Wurde gemäß der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 eine Zulassung für ein Orphan Drug erteilt, werden die Gemeinschaft und die Mitgliedstaaten während der nächsten zehn Jahre weder einen anderen Antrag auf Zulassung eines ähnlichen Arzneimittels für dasselbe therapeutische Anwendungsgebiet annehmen, noch eine entsprechende Zulassung erteilen oder eine bestehende Zulassung verlängern.
2. Dieser Zeitraum kann jedoch auf sechs Jahre verkürzt werden, wenn am Ende des fünften Jahres ein Mitgliedstaat nachweisen kann, daß die in Artikel 3 festgelegten Kriterien in bezug auf das betreffende Arzneimittel nicht mehr zutreffen oder der Preis des Arzneimittels Gewinne ermöglicht, die nicht mehr vertretbar sind. Der Mitgliedstaat leitet zu diesem Zweck das in Artikel 5 genannte Verfahren ein.
3. Abweichend von Absatz 1 und vorbehaltlich der Rechtsvorschriften über geistiges Eigentum oder anderer Rechtsvorschriften der Gemeinschaft kann für ein ähnliches Arzneimittel mit dem selben Anwendungsgebiet eine Zulassung gewährt werden, wenn
 - a) der Inhaber der Zulassung des zuerst als Orphan Drug ausgewiesenen Arzneimittels dem zweiten Antragsteller seine Zustimmung gegeben hat oder
 - b) der Inhaber der Zulassung des zuerst als Orphan Drug ausgewiesenen Arzneimittels das Arzneimittel nicht in ausreichender Menge liefern kann oder
 - c) der zweite Antragsteller in seinem Antrag nachweisen kann, daß das zweite Arzneimittel, obwohl es dem ersten bereits zugelassenen Mittel ähnlich ist, diesem hinsichtlich der Unbedenklichkeit, Wirksamkeit oder anderer klinischer Aspekte überlegen ist.
4. Nach Ablauf der Geltungsdauer des Alleinvertriebsrechts wird das Orphan Drug aus dem *Gemeinschaftsregister für Orphan Drugs* gestrichen.
5. Im Sinne dieses Artikels ist ein "ähnliches Arzneimittel" ein Erzeugnis mit
 - demselben chemischen Wirkstoff bzw. wirksamen Anteil des Stoffs, einschließlich Isomeren und Mischungen von Isomeren, Komplexen, Estern, anderen Derivaten von nicht-kovalenten Verbindungen, vorausgesetzt, daß die pharmakologischen und toxikologischen Wirkungen der letztgenannten Stoffe mit denen des ursprünglichen Mittels qualitativ und quantitativ identisch sind;
 - einem Stoff mit derselben biologischen Wirkung (einschließlich Stoffen mit anderer Molekularstruktur, anderem Ursprungsmaterial und/oder anderem Herstellungsverfahren als der ursprüngliche Stoff), vorausgesetzt, daß die

pharmakologische Wirkung des genannten Stoffs mit dem des ursprünglichen Mittels qualitativ und quantitativ identisch ist;

- einem Stoff mit derselben radiopharmakologischen Wirkung (einschließlich Stoffen mit anderem Radionuklid, Liganden, Markierungsort oder Kupplungsmechanismus zur Bindung des Radionuklids an das Molekül), vorausgesetzt, daß seine diagnostischen oder therapeutischen Anwendungsgebiete mit denen des ursprünglichen Mittels identisch sind.
6. Die Kommission erstellt im Benehmen mit den Mitgliedstaaten, der Agentur und den interessierten Parteien ausführliche Leitlinien für die Anwendung dieses Artikels.

Artikel 9

Sonstige Anreize

1. Für die nach den Bestimmungen dieser Verordnung als Orphan Drugs ausgewiesenen Arzneimittel können von der Gemeinschaft und den Mitgliedstaaten Anreize geschaffen werden, um die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs zu fördern und deren Verfügbarkeit zu verbessern.
2. Die Mitgliedstaaten teilen der Kommission innerhalb von sechs Monaten nach Erlass dieser Verordnung ausführliche Informationen über Maßnahmen mit, die sie erlassen haben, um die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs zu fördern und deren Verfügbarkeit zu verbessern. Diese Informationen werden in regelmäßigen Abständen aktualisiert.
3. Die Mitgliedstaaten prüfen ferner, ob eine teilweise oder vollständige Befreiung von den für Anträge auf Zulassung von Orphan Drugs zu entrichtenden Gebühren gewährt werden soll.
4. Die Kommission veröffentlicht innerhalb eines Jahres nach Erlass dieser Verordnung ein ausführliches Verzeichnis aller Anreize, die von der Gemeinschaft und den Mitgliedstaaten geschaffen wurden, um die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs zu fördern und deren Verfügbarkeit zu verbessern. Dieses Verzeichnis wird in regelmäßigen Abständen aktualisiert.

Artikel 10

Allgemeiner Bericht

Die Kommission veröffentlicht innerhalb von sechs Jahren nach Inkrafttreten dieser Verordnung einen allgemeinen Bericht über die bei der Anwendung dieser Verordnung gewonnenen Erfahrungen.

Artikel 11

Inkrafttreten

Diese Verordnung tritt am dreißigsten Tag nach ihrer Veröffentlichung im *Amtsblatt der Europäischen Gemeinschaften* in Kraft.

Diese Verordnung ist in allen ihren Teilen verbindlich und gilt unmittelbar in jedem Mitgliedstaat.

Finanzbogen

1. BEZEICHNUNG DER MASSNAHME

Vorschlag für eine Verordnung des Europäischen Parlaments und des Rates über Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drugs)

2. HAUSHALTSLINIE(N)

B5-3120 Zuschuß für die Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln - Personal- und Betriebsaufwendungskosten der Agentur im Zusammenhang mit dem Ausschuß für Orphan Drugs und der Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans

B5-3121 Spezieller Zuschuß für Orphan Drugs zur Finanzierung von Gebührenbefreiungen (neu zu schaffende Haushaltslinie)

3. RECHTSGRUNDLAGE

Artikel 100 a des Vertrags zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft

4. BESCHREIBUNG DER MASSNAHME

4.1 Allgemeines Ziel der Maßnahme

Ziele dieses Vorschlags sind:

- die Schaffung eines Gemeinschaftsverfahrens für die Ausweisung von Orphan Drugs
- die Schaffung von Anreizen für Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringen von Orphan Drugs, insbesondere durch Erteilung eines 10 Jahre wirksamen Rechts auf Alleinvertrieb

4.2 Dauer der Maßnahme und ggf. Bestimmungen über ihre Erneuerung oder Verlängerung

Die vorgeschlagene Verordnung hat keine festgelegte Geltungsdauer.

Die Kommission erstellt innerhalb eines Jahres nach Inkrafttreten der Verordnung ein detailliertes Verzeichnis aller Anreize, die die Gemeinschaft und die Mitgliedstaaten geschaffen haben, um die Forschung und Entwicklung im Bereich der Orphan Drugs zu fördern und deren Verfügbarkeit zu verbessern.

Die Kommission veröffentlicht innerhalb von sechs Jahren nach Inkrafttreten der Verordnung einen allgemeinen Bericht über die gemachten Erfahrungen.

5. EINSTUFUNG DER AUSGABEN/EINNAHMEN

- NOA; NGM

6. ART DER AUSGABEN/EINNAHMEN

Die Zuschüsse der Gemeinschaft decken folgende Ausgaben:

- 6.1. Betriebsaufwendungskosten der Europäischen Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln im Zusammenhang mit der Ausweisung von Orphan Drugs (Titel 3 des Haushalts der Agentur); diese Ausgaben werden durch den Zuschuß der Gemeinschaft zum Haushalt der Agentur gedeckt.
- 6.2. Personalkosten der Europäischen Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln im Zusammenhang mit der Ausweisung von Orphan Drugs und der Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans (Titel 1 des Haushalts der Agentur); diese Ausgaben werden durch den Zuschuß der Gemeinschaft zum Haushalt der Agentur gedeckt.
- 6.3. Gebührenbefreiungen für Anträge auf Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans und Zulassungsanträge (Titel 3 des Haushalts der Agentur); diese Ausgaben werden durch den speziellen Zuschuß der Gemeinschaft zum Arzneimittelhaushalt der Agentur gedeckt.

7. FINANZIELLE AUSWIRKUNGEN

Die Bearbeitung der Anträge auf Ausweisung oder Zulassung von Orphan Drugs sowie auf Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans werden im Haushalt der Agentur die im folgenden beschriebenen Ausgaben bewirken.

Die Sitzungskosten und Personalkosten der Agentur sollen durch die Basiszuschüsse gedeckt werden. Gebührenbefreiungen werden durch einen speziellen Zuschuß aus dem Haushaltsplan der Gemeinschaft finanziert.

Die projektiven Angaben basieren auf der geschätzten Anzahl von Anträgen auf Ausweisung von Arzneimitteln und von Gebührenbefreiungen für die Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans und Zulassungen im Rahmen des zentralisierten Verfahrens:

Projektive Anzahl von Anträgen auf Ausweisung oder Zulassung von Orphan Drugs sowie auf Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans:

Jahr	2000	2001	2002	2003
Anzahl der Anträge	5	8	12	12

- 7.1 Sitzungs- und Personalkosten, die durch eine Aufstockung des Ausschusses für die Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln finanziert werden sollen

A - Sitzungskosten

Vierteljährliche, zweitägige Sitzungen des Ausschusses für Orphan Drugs in der Agentur mit Dolmetschdienst.

Erstattung der Kosten für Reise und Unterkunft von 21 Delegierten gemäß den vom Lenkungsausschuß der Agentur festgelegten Bestimmungen.

Kosten pro Sitzung (in ECU) im Jahr 1998	24.000
Gesamtkosten für Sitzungen pro Jahr (4 Sitzungen/Jahr)	96.000

2000	2001	2002	2003
100.000	102.000	104.000	106.000

B - Personalkosten der Agentur

Die Ausweisung von Orphan Drugs und die Unterstützung bei der Erstellung von Prüfplänen erfordern die Schaffung eines eigenen Teams im Sekretariat der Agentur.

Humanressourcen und Personalkosten des Teams (in ECU zu den derzeitigen Kosten)			
Funktion und Dienstgrad	Jahresgehalt pro Mitarbeiter	Gesamte direkte Personalkosten des Teams	Gesamte Personalkosten des Teams (einschl. Gemeinkosten)
1 Hauptverwaltungsrat (A5)	94.000	94.000	124.080
3 wissenschaftliche Referenten (A7)	70.000	210.000	277.200
1 Verwaltungshauptinspektor (B3)	56.000	56.000	73.920
2 Bürosekretäre (C3)	45.000	90.000	118.800
Personalkosten/Haushaltsjahr insgesamt		450.000	594.000

C - Gesamte Sitzungs- und Personalkosten

	2000	2001	2002	2003
Sitzungen	100.000	102.000	104.000	106.000
Personal	400.000	606.000	618.000	630.000
INSGESAMT	500.000	708.000	722.000	736.000

7.2 Gebührenbefreiungen, die durch einen speziellen Zuschuß der Gemeinschaft an die Agentur finanziert werden sollen

Gemäß Artikel 7 Absatz 1 der Verordnung (EG) Nr. 297/95 des Rates über die Gebühren der Europäischen Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln kann der Verwaltungsdirektor unter außergewöhnlichen Umständen und aus zwingenden Gründen der Volksgesundheit oder der Tiergesundheit Gebührenbefreiungen oder -ermäßigungen für Anträge gewähren, die im Rahmen des zentralisierten Verfahrens gestellt werden. Entscheidungen über die Gewährung einer Gebührenbefreiung ergehen nach Anhörung des zuständigen wissenschaftlichen Ausschusses und gemäß den vom Verwaltungsrat festgelegten Kriterien.

Bei Gebührenbefreiungen oder -ermäßigungen für Anträge auf Zulassung von Orphan Drugs im Rahmen der neuen Verordnung kommt das gleiche Verfahren zur Anwendung.

Auf der Grundlage des derzeitigen Vorschlags für eine Verordnung des Rates über die Gebühren der Europäischen Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln betragen die Grundgebühren für einen vollständigen Zulassungsantrag 200.000 ECU. Der Zuschuß für Gebührenbefreiungen basiert auf der erwarteten Anzahl von Anträgen und auf der Annahme, daß die Gebühren durchschnittlich um die Hälfte verringert werden.

7.3 Gesamtbelastung für den Haushalt

Die geschätzte Gesamtbelastung des Haushalts der Agentur durch die vorgeschlagenen Maßnahmen ist in der nachstehenden Tabelle aufgeschlüsselt; die Zuschüsse der Gemeinschaft werden auf der Grundlage dieser Angaben festgelegt.

Die Zuschüsse würden sich wie folgt zusammensetzen:

	2000	2001	2002	2003
Gemeinschaftszuschuß (Sitzungs- und Personal- kosten)	500.000	708.000	722.000	736.000
Spezieller Zuschuß der Gemeinschaft für Gebühren- befreiungen	500.000	800.000	1.200.000	1.200.000
Insgesamt	1.000.000	1.508.000	1.922.000	1.936.000

8. VORGESEHENE BETRUGSBEKÄMPFUNGSMASSNAHMEN

In der Verordnung Nr. (EWG) 2309/93 ist die Verabschiedung detaillierter Bestimmungen für Haushaltskontrollverfahren vorgesehen. Für die Verabschiedung des jährlichen Haushaltsentwurfs ist der Verwaltungsrat zuständig, der sich aus Vertretern der Mitgliedstaaten, des Parlaments und der Kommission zusammensetzt (Artikel 55). Die Mechanismen der Haushaltskontrolle, einschließlich der Ernennung eines Finanzkontrolleurs durch den Verwaltungsrat, sind in Artikel 57 beschrieben.

9. ANGABEN ZUR KOSTEN-WIRKSAMKEITS-ANALYSE

9.1 Quantifizierbare Einzelziele, Zielgruppe

In seiner Entschließung vom 20. Dezember 1995 über Orphan-Präparate (ABl. Nr. C 350 vom 30.12.1995) hat der Rat "ein gemeinsames europaweites Konzept hinsichtlich seltener Krankheiten und Orphan-Präparaten" gefordert, da dies "sowohl für den Bereich der Epidemiologie und der öffentlichen Gesundheit als auch auf wirtschaftlicher Ebene von Vorteil" sei, und die Kommission ersucht, "geeignete Vorschläge vorzulegen, mit denen der Zugang zu Arzneimitteln insbesondere für Personen mit seltenen Krankheiten verbessert wird."

Durch den vorliegenden Vorschlag sollen die Rechtsvorschriften für Orphan Drugs harmonisiert werden; gleichzeitig werden unbeschadet entsprechender Maßnahmen, die auf nationaler Ebene ergriffen werden können, Anreize für die Forschung und Entwicklung auf europäischer Ebene geschaffen.

Die vorgeschlagene Verordnung ermöglicht Investoren den Zugang zu Ressourcen der Agentur. Dies betrifft insbesondere

- wissenschaftliche Ressourcen, die die Mitgliedstaaten der Agentur für ihre Arbeit bei der Beurteilung von Arzneimitteln zur Verfügung stellen; hier handelt es sich um ein Netz von 2 000 Sachverständigen, die über das nötige Know-how verfügen, um bei den wissenschaftlichen Stellungnahmen der Agentur höchste Qualität zu gewährleisten;
- den direkten Zugang zum zentralisierten Verfahren, das eine zügige und qualitativ hochwertige Prüfung der Anträge ermöglicht und zur Erteilung einer einzigen gemeinschaftsweit geltenden Zulassung führt; dadurch verstreicht weniger Zeit, bis den Patienten Arzneimittel zur Verfügung gestellt werden können, und wird den Investoren eine schnellere Rendite der getätigten Investitionen ermöglicht.

Ferner ist in der Verordnung eine finanzielle und technische Unterstützung vorgesehen:

- nach Ausweisung des Arzneimittels Möglichkeit einer Gebührenbefreiung bei Anträgen auf Zulassung sowie auf wissenschaftliche und technische Beratung, so daß der Zugang zum zentralisierten Verfahren insbesondere für kleine und mittlere Unternehmen erleichtert wird,
- wissenschaftliche/ordnungspolitische Beratung und Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplans, damit Investoren - insbesondere im Hinblick auf die Folgemaßnahmen der klinischen Versuche und die Vorbereitung der Unterlagen - auf das wissenschaftliche und ordnungspolitische Know-how der Agentur zurückgreifen können. Durch die enge Einbeziehung des Arzneimittelausschusses und seiner Arbeitsgruppen könnte die Prüfung der Antragsunterlagen erleichtert werden, falls der Investor sich dazu entschließt, den Antrag im Rahmen des zentralisierten Verfahren zu stellen.

9.2 Begründung der Maßnahme

In der Verordnung sind effiziente Mechanismen und wirkungsvolle Anreize für Forschung und Entwicklung vorgesehen, um im Einklang mit der entsprechenden Gemeinschaftspolitik Patienten in Europa den Zugang zu Orphan Drugs zu erleichtern.

9.3 Follow-up und Bewertung der Maßnahme

Der Verwaltungsdirektor der Agentur legt Ende jeden Jahres einen Bericht über die Verwendung des speziellen Zuschusses der Gemeinschaft vor.

Ferner prüft der Verwaltungsrat der Agentur, inwieweit die Leistungsziele der Agentur erreicht werden, und untersucht dabei, welche Zeiträume bis zur Ausweisung, Zulassung und Verfügbarkeit von Orphan Drugs auf dem europäischen Markt verstreichen; dabei werden vor allem auch Vergleiche mit den Vereinigten Staaten und Japan angestellt.

06.11.98

Beschluß
des Bundesrates

Vorschlag einer Verordnung (EG) des Europäischen Parlaments und
des Rates über Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drugs)

KOM(98) 450 endg.; Ratsdok. 10827/98

Der Bundesrat hat gemäß §§ 3 und 5 EUZBLG von der Vorlage Kenntnis
genommen.

Der Beschluß ist gemäß § 35 GO BR gefaßt worden.