

REGLUGERÐ

um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum.

I. KAFLI

Almenn ákvæði.

1. gr.

Gildissvið.

Reglugerð þessi gildir um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum sem ekki hafa markaðsleyfi og aðgengi að þeim lyfjum sem hlotið hafa leyfið.

Reglugerðin gildir ekki um:

- Umsókn eða 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:

- Klínísk prófun:** Eins og það er skilgreint í 3. gr. reglugerðar nr. 1311/2021 um klínískar prófanir á mannalyfjum.
- Leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum:** Að gera tiltekið lyf aðgengilegt af mannúðarástæðum fyrir hóp sjúklings 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 sem hafa fengið leyfi Lyfjastofnunar til að vera notuð af mannúðarástæðum.
- Meðferðarlæknir:** Sá aðili sem, fyrir hönd sjúklings, óskar eftir aðgengi að lyfi sem notað er af mannúðarástæðum frá umsækjanda.
- Miðlægt markaðsleyfi:** Markaðsleyfi sem veitt eru af Lyfjastofnun Evrópu á grundvelli 6. gr. reglugerðar (EB) nr. 726/2004.
- Setning á markað:** Fyrsta skipti sem lyf er boðið fram á markaði innan Evrópska efnahagssvæðisins.
- 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, taugahrönnunarsjúkdómar og sjálfsofnæmissjúkdómar.
- 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.
- Umsækjandi:** Sá aðili sem hefur sótt um miðlægt markaðsleyfi fyrir lyf eða framleiðandi lyfs sem verið er að prófa í klínískri prófun og sækir um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum hér á landi.

II. KAFLI

Umsókn um leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum.

4. gr.

Skilyrði fyrir leyfisveitingu.

Eftirfarandi skilyrði þurfa að vera uppfyllt svo veita megi leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum:

- a. Umsókn um miðlægt markaðsleyfi lyfs liggur fyrir hjá 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 markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu, og
- d. fullnægjandi vísbendingar liggja fyrir um að sambandið á milli áhættu og ávinnings lyfsins sé talið að mestu leyti jákvætt fyrir viðkomandi sjúklingahóp.

5. gr.

Umsókn um leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum.

Umsækjandi skal senda Lyfjastofnun umsókn um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum hér á landi. Með umsókninni skulu fylgja þau umsóknargögn sem Lyfjastofnun tilgreinir á vefsíðu sinni að skuli fylgja. Lyfjastofnun skal meta hvort skilyrði til leyfisins, sbr. 4. gr., séu uppfyllt. Lyfjastofnun skal upplýsa Lyfjastofnun Evrópu um samþykktar umsóknir.

Lyfjastofnun er heimilt að taka gjald fyrir umsókn í samræmi við gildandi gjaldskrá stofnunarinnar hverju sinni.

6. gr.

Álit um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum.

Áður en Lyfjastofnun veitir leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum skal liggja fyrir álit frá mannalyfjanefnd Lyfjastofnunar Evrópu, sem gefið er út í samráði við umsækjandann, um skilyrði fyrir notkun og dreifingu og þá sjúklinga sem lyfinu er ætlað.

Lyfjastofnun er skylt að taka tillit til álits nefndarinnar, sbr. 1. mgr. við ákvörðun um að heimila notkun lyfs af mannúðarástæðum.

Álit mannalyfjanefndar Lyfjastofnunar Evrópu skal ekki hafa áhrif á einkaréttar- eða refsíabyrgð umsækjanda.

Lyfjastofnun getur óskað eftir umsögn lyfjanefndar Landspítalans og/eða Sjúkratrygginga Íslands áður en umsókn er samþykkt og skal það ekki hafa áhrif á afgreiðslutíma umsóknarinnar, sbr. 1. mgr. 7. gr.

7. gr.

Afgreiðsla umsóknar.

Eftir að álit mannalyfjanefndar Lyfjastofnunar Evrópu liggur fyrir skal Lyfjastofnun afgreiða umsókn um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum innan 35 virkra daga.

Lyfjastofnun er heimilt að samþykkja umsókn til ákveðins tíma. Þegar sá tími er liðinn þarf að sækja um leyfi að nýju.

Lyfjastofnun skal birta á vefsíðu sinni upplýsingar um þau lyf sem hafa fengið leyfi til að vera boðin til notkunar af mannúðarástæðum og hvaða sjúklingahópa það er fyrir ásamt tengiliða-upplýsingum umsækjanda.

8. gr.

Aðgengi sjúklings að lyfjum til notkunar af mannúðarástæðum.

Eingöngu meðferðarlæknir, fyrir hönd sjúklings, getur óskað eftir aðgengi að lyfi frá umsækjanda sem hefur fengið leyfi frá Lyfjastofnun um að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum.

Meðferðarlæknir skal óska eftir samþykki framkvæmdastjóra lækninga á þeirri heilbrigðisstofnun sem hann starfar hjá áður en hann óskar eftir aðgengi að lyfi frá umsækjanda.

Meðferðarlæknir skal upplýsa sjúkling, áður en notkun lyfs hefst, að ekki sé hægt að tryggja áframhaldandi meðferð né greiðsluþátttöku ríkisins í lyfjakostnaði eftir að lyf er sett á markað innan Evrópska efnahagssvæðisins eða eftir að klínískum lyfjaprófunum er hætt.

Meðferðarlæknir skal upplýsa sjúkling um öryggi lyfs og breytingar á leyfi, sbr. 9. gr.

III. KAFLI

Sérstök ákvæði.

9. gr.

Öryggi lyfs.

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

Umsækjandi skal upplýsa meðferðarlækni um allar breytingar á leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum án tafar og allar aukaverkanir lyfs.

Meðferðarlæknir skal tilkynna bæði Lyfjastofnun og umsækjanda um aukaverkanir lyfs sem sjúklingur hans verður fyrir.

10. gr.

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

Umsækjandi skal sjá til þess að lyf sem notuð eru af mannúðarástæðum séu sjúklingum að kostnaðarlausu á þeim tíma sem notkun af mannúðarástæðum fer fram og á tímabilinu frá því að miðlægt markaðsleyfi er veitt og þar til það er sett á markað innan Evrópska efnahagssvæðisins.

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

11. gr.

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

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

12. gr.

Breytingar á leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum.

Umsækjandi skal sækja um breytingar á leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum til Lyfjastofnunar. 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.

13. 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.

Lyfjastofnun skal tilgreina í leiðbeiningum með umsókn hvaða upplýsingar stofnuninni er unnt að afla varðandi sjúklingahópinn svo unnt sé að meta listann.

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

14. gr.

Stöðvun á notkun og afturköllun leyfis.

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

Lyfjastofnun getur afturkallað leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum ef skilyrði til leyfisins eru ekki lengur uppfyllt eða framkvæmd umsækjanda er ekki í samræmi við leyfið.

IV. KAFLI

Lagastoð og gildistaka.

15. 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.

Heilbrigðisráðuneytinu, 12. apríl 2023.

Willum Þór Þórsson.

Ásthildur Knútsdóttir.