

Il presente testo è un semplice strumento di documentazione e non produce alcun effetto giuridico. Le istituzioni dell'Unione non assumono alcuna responsabilità per i suoi contenuti. Le versioni facenti fede degli atti pertinenti, compresi i loro preamboli, sono quelle pubblicate nella Gazzetta ufficiale dell'Unione europea e disponibili in EUR-Lex. Tali testi ufficiali sono direttamente accessibili attraverso i link inseriti nel presente documento

► **B**    **REGOLAMENTO (CE) N. 141/2000 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO**  
**del 16 dicembre 1999**  
**concernente i medicinali orfani**  
(GU L 18 del 22.1.2000, pag. 1)

Modificato da:

		Gazzetta ufficiale		
		n.	pag.	data
► <b><u>M1</u></b>	Regolamento (CE) n. 596/2009 del Parlamento europeo e del Consiglio del 18 giugno 2009	L 188	14	18.7.2009
► <b><u>M2</u></b>	Regolamento (UE) 2019/1243 del Parlamento europeo e del Consiglio del 20 giugno 2019	L 198	241	25.7.2019



**REGOLAMENTO (CE) N. 141/2000 DEL PARLAMENTO  
EUROPEO E DEL CONSIGLIO**

**del 16 dicembre 1999**

**concernente i medicinali orfani**

*Articolo 1*

**Scopo**

Scopo del presente regolamento è di istituire una procedura comunitaria per l'assegnazione della qualifica di medicinali orfani e di offrire incentivi per la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali orfani così qualificati.

*Articolo 2*

**Definizioni**

Ai fini del presente regolamento si intende per:

- a) «medicinale»: un medicinale per uso umano ai sensi dell'articolo 2 della direttiva 65/65/CEE,
- b) «medicinale orfano»: un medicinale così qualificato ai sensi del presente regolamento,
- c) «sponsor»: una persona fisica o giuridica, stabilita nella Comunità, che richieda oppure abbia ottenuto la qualifica di medicinale orfano per un determinato medicinale,
- d) «agenzia»: l'Agenzia europea di valutazione dei medicinali.

*Articolo 3*

**Criteri per l'assegnazione della qualifica**

1. Un medicinale è qualificato come medicinale orfano qualora il suo sponsor sia in grado di dimostrare:

- a) che esso è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di una affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nella Comunità nel momento in cui è presentata la domanda, oppure

che esso è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia nella Comunità di una affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante, o di un'affezione grave e cronica, e che è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale medicinale all'interno della Comunità sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario;

e

- b) che non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o terapia di tale affezione autorizzati nella Comunità oppure che, se tali metodi esistono, il medicinale in questione avrà effetti benefici significativi per le persone colpite da tale affezione.

**▼ M1**

2. La Commissione adotta, secondo la procedura di regolamentazione di cui all'articolo 10 *bis*, paragrafo 2, le disposizioni necessarie per l'attuazione del paragrafo 1 del presente articolo tramite regolamento di applicazione.

**▼ B***Articolo 4***Comitato per i medicinali orfani**

1. In seno dall'Agenzia è istituito un comitato per i medicinali orfani, di seguito definito «il comitato».
2. Il comitato ha i seguenti compiti:
  - a) esaminare le domande di assegnazione della qualifica di medicinale orfano ad un medicinale, presentate al comitato in applicazione del presente regolamento;
  - b) consigliare la Commissione sull'istituzione e l'attuazione di una politica in materia di medicinali orfani per l'Unione europea;
  - c) assistere la Commissione nell'ambito delle discussioni internazionali su questioni relative ai medicinali orfani e nell'ambito delle relazioni con le associazioni che sostengono i pazienti;
  - d) assistere la Commissione nell'elaborazione di linee direttrici dettagliate.
3. Il comitato è composto da un membro nominato da ciascuno Stato membro, tre membri nominati dalla Commissione che rappresentano le organizzazioni dei pazienti e tre membri nominati dalla Commissione in base alle raccomandazioni dell'Agenzia. I membri del comitato sono nominati per un periodo di tre anni, rinnovabile. Essi possono farsi assistere da esperti.
4. Il comitato elegge il proprio presidente, che rimane in carica per tre anni; tale carica è rinnovabile una sola volta.
5. I rappresentanti della Commissione e il direttore esecutivo dell'Agenzia o un suo rappresentante possono partecipare alle riunioni del comitato.
6. Le funzioni di segreteria del comitato sono svolte dall'Agenzia.
7. I membri del comitato sono tenuti, anche dopo la cessazione delle loro funzioni, a non divulgare informazioni del tipo coperto da segreto professionale.

*Articolo 5***Procedura di assegnazione della qualifica e di cancellazione dal Registro**

1. Per ottenere la qualifica di medicinale orfano per un determinato medicinale, lo sponsor inoltra domanda presso l'Agenzia in qualunque fase del processo di sviluppo del medicinale, prima della presentazione della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.
2. La domanda deve essere corredata delle informazioni e dei documenti seguenti:
  - a) nome o ragione sociale e indirizzo permanente dello sponsor,
  - b) principi attivi del medicinale,
  - c) indicazioni terapeutiche proposte;
  - d) giustificazione relativa all'osservanza dei criteri di cui all'articolo 3, paragrafo 1, nonché descrizione dello stato di sviluppo, comprese le indicazioni previste.

**▼B**

3. La Commissione, in consultazione con gli Stati membri, l'Agenzia e le parti interessate, redige linee direttrici dettagliate sui requisiti di forma e di contenuto delle domande di assegnazione della qualifica.
4. L'Agenzia verifica la validità di ciascuna domanda ed elabora una relazione sintetica destinata al comitato. Eventualmente può invitare lo sponsor a integrare le informazioni e i documenti allegati alla domanda.
5. L'Agenzia garantisce che il comitato emetta un parere entro 90 giorni dal ricevimento di una domanda correttamente presentata.
6. Nell'elaborare il proprio parere, il comitato si sforza di raggiungere un accordo. In mancanza di tale accordo, il parere è adottato a maggioranza dei due terzi dei membri del comitato. Tale parere può essere reso mediante procedura scritta
7. Qualora il comitato sia del parere che la domanda di assegnazione della qualifica non corrisponda ai criteri di cui all'articolo 3, paragrafo 1, l'Agenzia informa immediatamente lo sponsor. Entro 90 giorni dal ricevimento di tale parere, lo sponsor può presentare dettagliate motivazioni che potranno servire da base per un ricorso e che l'Agenzia trasmette al comitato. Il comitato giudica se sia necessario rivedere il proprio parere in occasione della riunione successiva.

**▼M1**

8. L'Agenzia trasmette immediatamente il parere definitivo del comitato alla Commissione, la quale adotta una decisione entro trenta giorni dalla data di ricevimento del parere. Qualora, in casi eccezionali, il progetto di decisione non sia conforme al parere del comitato, la decisione finale è adottata secondo la procedura di regolamentazione di cui all'articolo 10 *bis*, paragrafo 2. La decisione è notificata allo sponsor e comunicata all'Agenzia e alle autorità competenti degli Stati membri.

**▼B**

9. Il medicinale in questione è iscritto nel Registro comunitario dei medicinali orfani.
10. Lo sponsor presenta ogni anno all'Agenzia una relazione sullo stato di sviluppo del medicinale qualificato come orfano.
11. Al fine di ottenere il trasferimento ad un altro sponsor della qualifica di medicinale orfano, il titolare di tale qualifica presenta all'Agenzia una domanda specifica. La Commissione stabilisce, in consultazione con gli Stati membri, l'Agenzia e le parti interessate, linee direttrici dettagliate sulla forma delle domande di trasferimento, il loro contenuto e tutte le informazioni relative al nuovo sponsor.

**▼B**

12. Un medicinale che ha ottenuto la qualifica di medicinale orfano è cancellato dal Registro comunitario dei medicinali orfani:

- a) su richiesta dello sponsor,
- b) ove sia accertato, prima della concessione dell'autorizzazione di immissione in commercio, che il medicinale in questione non risponde più ai criteri enunciati all'articolo 3,
- c) alla scadenza del periodo di esclusiva di mercato di cui all'articolo 8.

*Articolo 6***Assistenza per l'elaborazione di protocolli**

1. Prima di presentare una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio, lo sponsor di un medicinale orfano può chiedere un parere all'Agenzia circa l'effettuazione dei diversi test e prove necessari per dimostrare la qualità, la sicurezza e l'efficacia del medicinale, conformemente all'articolo 51, lettera j), del regolamento (CEE) n. 2309/93.

2. L'Agenzia istituisce una procedura per lo sviluppo dei medicinali orfani, che prevede una consulenza normativa per la definizione del contenuto della domanda di autorizzazione ai sensi dell'articolo 6 del regolamento (CEE) n. 2309/93.

*Articolo 7***Autorizzazione comunitaria di immissione in commercio**

1. La persona responsabile dell'immissione in commercio di un medicinale orfano può chiedere che la relativa autorizzazione sia concessa dalla Comunità conformemente alle disposizioni del regolamento (CEE) n. 2309/93, senza essere obbligata a dimostrare che il medicinale è conforme alla parte B dell'allegato di tale regolamento.

2. All'Agenzia verrà corrisposto annualmente un contributo speciale della Comunità, diverso da quello disposto nell'articolo 57 del regolamento (CEE) n. 2309/93. Tale contributo è utilizzato dall'agenzia esclusivamente per compensare il mancato recupero totale o parziale di tutti i diritti dovuti a norma delle regole comunitarie adottate ai sensi del regolamento (CEE) n. 2309/93. Al termine di ogni anno il direttore esecutivo dell'Agenzia presenta una relazione dettagliata che illustra le modalità di utilizzo del contributo speciale. Le eventuali eccedenze per un determinato anno contabile sono riportate all'anno successivo e dedotte dal contributo speciale riferito a quest'ultimo.

3. L'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale orfano è riferita esclusivamente alle indicazioni terapeutiche che soddisfano i criteri di cui all'articolo 3. Ciò non esclude la possibilità di richiedere, per indicazioni che esulano dal campo di applicazione del presente regolamento, un'autorizzazione all'immissione in commercio distinta.

**▼B***Articolo 8***Esclusiva di mercato**

1. Dopo avere concesso un'autorizzazione comunitaria all'immissione in commercio di un medicinale orfano in virtù del regolamento (CEE) n. 2309/93, o dopo che tutti gli Stati membri hanno concesso un'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale orfano secondo le procedure di reciproco riconoscimento di cui agli articoli 7 e 7 *bis* della direttiva 65/65/CEE o all'articolo 9, paragrafo 4, della direttiva 75/319/CEE del Consiglio, del 20 maggio 1975, concernente il ravvicinamento delle disposizioni legislative, regolamentari ed amministrative relative ai medicinali <sup>(1)</sup>, e fatte salve le disposizioni del diritto di proprietà intellettuale o ogni altra disposizione del diritto comunitario, la Comunità e gli Stati membri non accettano altre domande di autorizzazione, non concedono altre autorizzazioni all'immissione in commercio, né accettano richieste relative all'estensione di autorizzazioni all'immissione in commercio, esistenti per medicinali analoghi, con le stesse indicazioni terapeutiche per un periodo di dieci anni.

2. Tale periodo può tuttavia essere ridotto a sei anni se, alla scadenza del quinto anno, risulta che il medicinale in questione non è più conforme ai criteri di cui all'articolo 3 e se risulta fra l'altro, sulla base dei dati disponibili, che il rendimento è tale da non giustificare il mantenimento dell'esclusiva di mercato. A tal fine, uno Stato membro informa l'Agenzia che il criterio in base al quale è concessa l'esclusiva di mercato potrebbe non essere rispettato; a seguito di ciò l'Agenzia avvia la procedura definita nell'articolo 5. Lo sponsor fornisce all'Agenzia le informazioni necessarie al riguardo.

3. In deroga al paragrafo 1 e fatte salve la normativa in materia di proprietà intellettuale e le pertinenti disposizioni del diritto comunitario, può essere concessa un'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale simile con le stesse indicazioni terapeutiche qualora:

- a) il titolare dell'autorizzazione per il medicinale orfano originale abbia dato il proprio consenso al secondo richiedente, oppure
- b) il titolare dell'autorizzazione per il medicinale orfano originale non sia in grado di fornire una quantità sufficiente del medicinale in questione, oppure
- c) il secondo richiedente dimostri nella sua domanda che il secondo medicinale, benché simile al medicinale orfano già autorizzato, è più sicuro, più efficace o comunque clinicamente superiore.

**▼M2**

4. Alla Commissione è conferito il potere di adottare atti delegati conformemente all'articolo 10 *ter*, con cui integra il presente regolamento adottando le definizioni delle espressioni «medicinale simile» e «clinicamente superiore».

**▼B**

5. La Commissione, in consultazione con gli Stati membri, l'Agenzia e le parti interessate, redige linee direttrici dettagliate per l'applicazione del presente articolo.

<sup>(1)</sup> GU L 147 del 9.6.1975, pag. 13. Direttiva modificata da ultimo dalla direttiva 93/39/CEE del Consiglio (GU L 214 del 24.8.1993, pag. 22).

**▼ B***Articolo 9***Altri incentivi**

1. I medicinali qualificati come orfani conformemente alle disposizioni del presente regolamento possono beneficiare di incentivi messi a disposizione dalla Comunità e dagli Stati membri allo scopo di promuovere la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali orfani e in particolare delle misure di aiuto alla ricerca a favore delle piccole e medie imprese previste dai programmi quadro di ricerca e sviluppo tecnologico.
2. Anteriormente al 22 luglio 2000, gli Stati membri trasmettono alla Commissione informazioni dettagliate circa ogni misura da essi eventualmente adottata per promuovere la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio di medicinali orfani o di medicinali che possono essere qualificati come tali. Tali informazioni sono aggiornate a intervalli regolari.
3. Anteriormente al 22 gennaio 2001, la Commissione pubblica un elenco dettagliato di tutti gli incentivi messi a disposizione dalla Comunità e dagli Stati membri per promuovere la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali orfani. Tale elenco è aggiornato a intervalli regolari.

*Articolo 10***Relazione generale**

Anteriormente al 22 gennaio 2006, la Commissione pubblica una relazione generale sull'esperienza acquisita a seguito dell'applicazione del presente regolamento, che illustri anche i vantaggi ottenuti sul piano della sanità pubblica.

**▼ M1***Articolo 10 bis*

1. La Commissione è assistita dal comitato permanente per i medicinali per uso umano di cui all'articolo 121, paragrafo 1, della direttiva 2001/83/CE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 6 novembre 2001, recante un codice comunitario relativo ai medicinali per uso umano <sup>(1)</sup>.
2. Nei casi in cui è fatto riferimento al presente paragrafo, si applicano gli articoli 5 e 7 della decisione 1999/468/CE del Consiglio <sup>(2)</sup>, tenendo conto delle disposizioni dell'articolo 8 della stessa.

I termini stabiliti all'articolo 5, paragrafo 6, della decisione 1999/468/CE sono fissati a tre mesi.

**▼ M2***Articolo 10 ter***Esercizio della delega**

1. Il potere di adottare atti delegati è conferito alla Commissione alle condizioni stabilite nel presente articolo.
2. Il potere di adottare atti delegati di cui all'articolo 8, paragrafo 4, è conferito alla Commissione per un periodo di cinque anni a decorrere dal 26 luglio 2019. La Commissione elabora una relazione sulla delega

<sup>(1)</sup> GU L 311 del 28.11.2001, pag. 67.

<sup>(2)</sup> GU L 184 del 17.7.1999, pag. 23.

**▼ M2**

di potere al più tardi nove mesi prima della scadenza del periodo di cinque anni. La delega di potere è tacitamente prorogata per periodi di identica durata, a meno che il Parlamento europeo o il Consiglio non si oppongano a tale proroga al più tardi tre mesi prima della scadenza di ciascun periodo.

3. La delega di potere di cui all'articolo 8, paragrafo 4, può essere revocata in qualsiasi momento dal Parlamento europeo o dal Consiglio. La decisione di revoca pone fine alla delega di potere ivi specificata. Gli effetti della decisione decorrono dal giorno successivo alla pubblicazione della decisione nella *Gazzetta ufficiale dell'Unione europea* o da una data successiva ivi specificata. Essa non pregiudica la validità degli atti delegati già in vigore.

4. Prima dell'adozione dell'atto delegato la Commissione consulta gli esperti designati da ciascuno Stato membro nel rispetto dei principi stabiliti nell'accordo interistituzionale «Legiferare meglio» del 13 aprile 2016 <sup>(1)</sup>.

5. Non appena adotta un atto delegato, la Commissione ne dà contestualmente notifica al Parlamento europeo e al Consiglio.

6. L'atto delegato adottato ai sensi dell'articolo 8, paragrafo 4, entra in vigore solo se né il Parlamento europeo né il Consiglio hanno sollevato obiezioni entro il termine di due mesi dalla data in cui esso è stato loro notificato o se, prima della scadenza di tale termine, sia il Parlamento europeo che il Consiglio hanno informato la Commissione che non intendono sollevare obiezioni. Tale termine è prorogato di due mesi su iniziativa del Parlamento europeo o del Consiglio.

**▼ B***Articolo 11***Entrata in vigore**

Il presente regolamento entra in vigore il giorno della pubblicazione nella *Gazzetta ufficiale delle Comunità europee*.

Esso è applicabile a decorrere dall'adozione dei regolamenti di applicazione previsti all'articolo 3, paragrafo 2, e all'articolo 8, paragrafo 4.

Il presente regolamento è obbligatorio in tutti i suoi elementi e direttamente applicabile in ciascuno degli Stati membri.

<sup>(1)</sup> GU L 123 del 12.5.2016, pag. 1.