



## Jaké změny EU legislativy dopadající na registraci léčiv přináší nový EU balíček?

Ing. Iva Budařová, Astellas Pharma s.r.o.

Made with GAMMA



## Co je "Farmaceutický balíček" EU?



### Zveřejnění

Evropská komise jej představila v dubnu 2023.



### Obsah

Zahrnuje novou směrnici a nové nařízení.



### Cíle

Zvýšení dostupnosti léčiv a podpora konkurenceschopnosti farmaceutického průmyslu v EU.

Made with GAMMA



## Proces schvalování a současný stav

- 1 — Odpovědnost v ČR  
Ministerstvo zdravotnictví ČR projednává v Radě EU. SÚKL se aktivně podílí na přípravě pozic.
- 2 — Projednávání  
Probíhá od belgického předsednictví (leden 2024). Následuje trialog (Evropský Parlament/Rada/Komise).
- 3 — Očekávaný harmonogram  
Finální verze nejdříve za rok. Navržená účinnost 18 měsíců po zveřejnění.

Made with GAMMA

## Klíčové navrhované změny – obecný přehled

### Modulovaný systém pobídek

Pro subjekty plnící cíle ve veřejném zdraví. Podpora inovací.

### Zjednodušený regulační rámec

Pro rychlejší registraci léčivých přípravků.

### Podpora "repurposingu"

Nové využití starších léčivých přípravků.

### Další oblasti

Boj proti antimikrobiální rezistenci a zavedení elektronických informací (ePI).

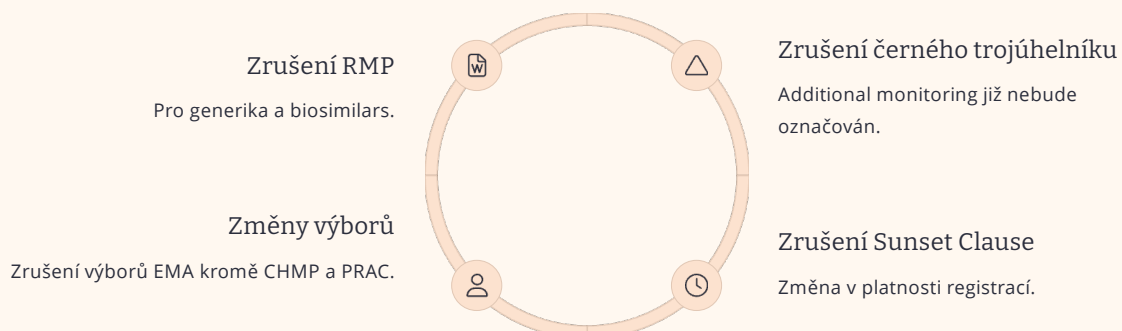


## Modulovaný systém pobídek

pro ty společnosti, které budou plnit důležité cíle v oblasti veřejného zdraví,  
např. vývoj inovativních léčivých přípravků, které řeší nenaplněné léčebné potřeby,  
předložení evidence ve srovnání s relevantním komparátorem....

Made with GAMMA

## Další navrhované změny



Made with GAMMA

## Změny v regulačním hodnocení a časových termínech



Cílem je zkrátit celkové časové termíny pro registraci léčiv v EU.



## Změny v časových termínech – detaily (I.)

### Standardní odborné hodnocení

Návrh EK na zkrácení z 210 na 180 dní.

Snaha o minimalizaci administrativních kroků bez kompromisu na odborném hodnocení.

### Zrychlený proces hodnocení

Návrh EK: 150 dní

Návrh EFPIA na 120 dní pro zachování smyslu a konkurenceschopnosti.

Zkrácení na **120 dní** je realistické, protože by zredukovalo délku hodnocení o 2 měsíce v porovnání se standardními termíny a současně by se přizpůsobilo měsíčním meetingovým cyklům Výboru pro humánní LP (CHMP).

## Změny v časových termínech – detaily (II.)

Současný stav

**67**

dnů pro rozhodovací proces EU Comitee Decision.

Návrh EK

**46**

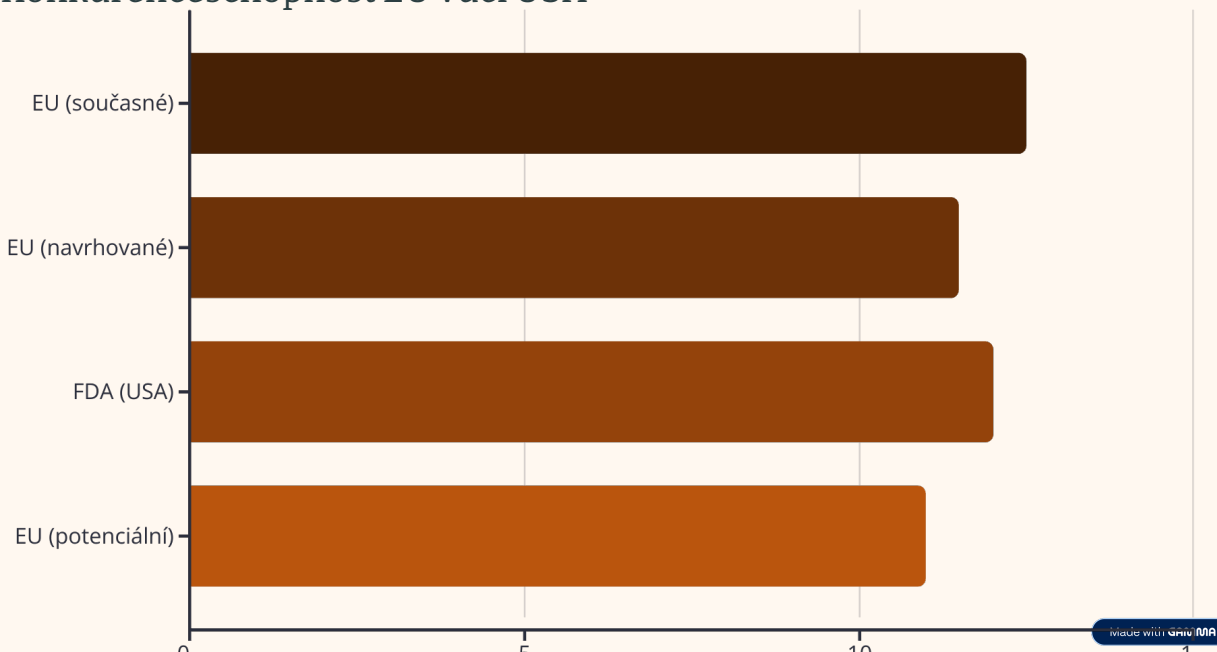
Návrh EP

**30**

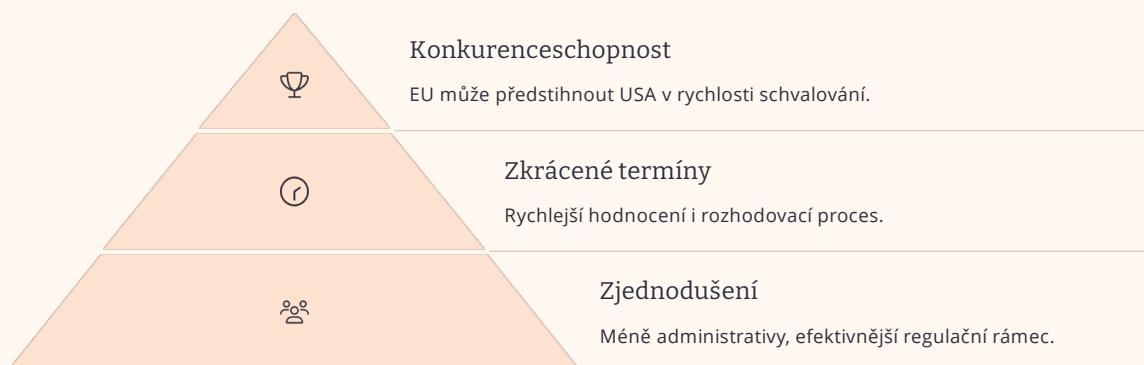
Rozhodovací proces Evropské komise by neměl zpožďovat přístup pacientů k novým lékům.



## Konkurenceschopnost EU vůči USA



## Shrnutí klíčových bodů



Nový farmaceutický balíček EU přináší významné změny v registraci léčiv. Cílem je zvýšit dostupnost léčiv a posílit konkurenceschopnost evropského farmaceutického průmyslu.

Made with GAMMA

## Aktuální situace

11.12.2025 Rada a Parlament dosáhly dohody o nových pravidlech pro spravedlivější a konkurenceschopnější farmaceutické odvětví EU

12.5.2026 Rada EU dosáhla předběžné dohody s Evropským parlamentem o novém nařízení, týkajícím se Aktu o kriticky důležitých léčivých přípravcích.

- balíček představuje rozsáhlou reformu farmaceutických právních předpisů EU a pomůže v celé EU zajistit **spravedlivý přístup k bezpečným, účinným a cenově dostupným léčivým přípravkům.**
- usiluje rovněž o **oživení konkurenceschopnosti farmaceutického průmyslu** snížením regulační zátěže a posílením bezpečnosti dodávek s cílem předcházet nedostatku léčivých přípravků a řešit jej.



## Regulační ochrana

• Podle znění, na němž se Rada a Parlament dohodly, by společnosti, které na trh uvádějí nový léčivý přípravek, mohly využívat **osmileté období ochrany údajů**, které znamená, že mají výhradní práva na údaje z předklinických zkoušek a klinických hodnocení.

• Rovněž budou mít nárok na **roční ochranu trhu** (výhradní právo prodávat výrobek bez bezprostřední konkurence generických nebo biologicky podobných léčivých přípravků), která může být u inovativních léčivých přípravků, které splňují jednu z podmínek, prodloužena o další rok.

Podmínky:

- Unmet medical need
- První pacient ve srovnávací studii v EU
- Mezinárodní srovnávací studie
- Pokud srovnávací studie není proveditelná: mezinárodní studie s 1.žádostí v Evropě

# 6+2+1

TRŽNÍ EXKLUZIVITA PRO ORPHANS

- Výlučnost na trhu po dobu 9 let, u průlomových terapií se diskutují další 2 roky (uznání průlomové terapie definováno jasnými podmínkami týkajícími se UMN - včetně porovnání zlepšení bezpečnosti a účinnosti)

Made with GAMMA

## Dostupnost léčivých přípravků

• Aby byla zajištěna dostupnost klíčových léčivých přípravků, ponechali autoři ustanovení Zavedené Radou (článek 56a), které dává zemím EU pravomoc **požadovat, aby společnosti dodávaly léčivé přípravky**, na něž se vztahuje regulační ochrana, v **dostatečném množství, aby byly uspokojeny potřeby pacientů**.

• V návaznosti na jednání byly do tohoto znění doplněny záruky, které upřesňují povinnosti společností a členských států a zabraňují využívání článku 56a (týkající se dostupnosti léčiv) jako příležitosti pro paralelní obchod.

• Ztráta 2 let ochrany trhu v dotčeném státě EU, pokud není zajištěn přístup pacientů k léčbě.

Made with GAMMA

## Ustanovení Bolar

- Farmaceutický balíček obsahuje ustanovení týkající se duševního vlastnictví, na jehož základě mohou výrobci učinit nezbytné kroky (například provádět studie nebo hodnocení) k zajištění toho, aby ihned **následující den poté**, co vyprší práva duševního vlastnictví, byly dostupné generické verze léčivého přípravku.
- Rada a Parlament znění tohoto ustanovení objasnily a zachovaly rozšíření oblasti působnosti Radou tak, aby zahrnovala **předkládání nabídek pro výběrová řízení veřejných zakázek**.
- Není zahrnut oznamovací mechanismus pro výrobce/držitele generik.

Made with GAMMA

## Antimikrobiální rezistence

- Farmaceutický balíček zavádí nový **převoditelný poukaz na exkluzivitu**, který farmaceutické společnosti motivuje, aby pomáhaly v boji proti antimikrobiální rezistenci **vývojem prioritních antibiotik**.
- Podle dohody dosažené mezi Radou a Parlamentem poskytne tento poukaz společností **další rok ochrany trhu** u farmaceutického výrobku podle svého výběru.
- Parlament rovněž souhlasil se zachováním **doložky o nejúspěšnějším léčivém přípravku** navržené Radou, která **omezuje potenciální dopad na vnitrostátní rozpočty na zdravotní péči** ustanovením, že převoditelný poukaz nelze použít na přípravky, u nichž byl v předchozích čtyřech letech roční hrubý obrat vyšší než 490 milionů EUR.

Made with GAMMA

## PODMÍNEČNÁ REGISTRACE

### Regulation Art.19

- regulační mechanismus dovolující včasné schválení LP označených jako UMN („unmet medical need“ = neuspokojené léčebné potřeby) a s velkým přínosem pro veřejné zdraví.

- umožňuje schválení LP na základě pozitivního „benefit-risk“ hodnocení, i při nedostupnosti kompletních studijních dat, za předpokladu, že dodatečná úplná data po schválení budou podporovat příznivý „benefit-risk“ profil LP.

- CMA (Conditional Marketing Authorization) umožňuje včasný přístup pacientů k nezbytným LP při zachování přísných standardů účinnosti, bezpečnosti a kvality. Ověřený mechanismus

- Používána zejména pro LP: vzácná onemocnění, závažná/život ohrožující nebo chronická onemocnění, usnadnění dostupnosti léčby pro potřeby pacientů.

- DNES se CMA používá pouze pro MAA. Upravující návrh použít CMA pro **nové indikace velkého zájmu** z hlediska veřejného zdraví a s ohledem na terapeutické inovace.

Made with GAMMA

## Paralelní indikace

### Directive Recital 51, Regulation Art 6

- V současné praxi je to tak, že u nových terapeutických indikací, kde byly studie ukončeny během MAA posouzení, musí pacienti čekat až do formálního schválení MAA, předtím než je možné novou indikaci podat.

- EFPIA proto navrhuje aktualizovat EU legislativu tak, aby se umožnilo **podání nových indikací paralelně s hodnocením iniciálních MAA** pro ten samý přípravek

- CMA umožňuje včasný přístup pacientů k nezbytným LP při zachování přísných standardů účinnosti, bezpečnosti a kvality. Ověřený mechanismus

- Používána zejména pro LP: vzácná onemocnění, závažná/život ohrožující nebo chronická onemocnění, usnadnění dostupnosti léčby pro potřeby pacientů.

- DNES se CMA používá pouze pro MAA. Upravující návrh použít CMA pro **nové indikace velkého zájmu** z hlediska veřejného zdraví a s ohledem na terapeutické inovace.

Made with GAMMA

## PRIME

### Directive Recital 51, Regulation Art 60

- Evropské schéma podporující inovace na základě rozšířené interakce a časného dialogu s vývojem LP s potenciálem, tak aby se optimalizovaly vývojové plány a urychlila se zhodnocení těchto LP.

- PRIME je regulační podporující nástroj pro inovace, který by neměl být limitován jen na „scientific advice“, ale více propojen s ostatními regulačními nástroji („expedited regulatory pathway“).

- Návrh zrušit limit ORPHAN LP v celkovém počtu PRIME a umožnit získat PRIME i pro nové indikace (obdoba „priority review“ nebo „priority assessment“ z regionů mimo EU)

- I přes ambice, které PRIME nabízí, je vhodnost „PRIME“ žádostí na 25%, což ukazuje na selektivní proces limitující jeho použití u relativně malého počtu přípravků.

- Aplikovatelnost článku 60(1) (Article 60(1)) navrhované legislativy bude znamenat podání dokumentace k požadání o vhodnost pro PRIME status. Pokud bude status PRIME udělen, je nezbytné **prokazovat kontinuální vhodnost k uchování tohoto PRIME statusu**. Toto je příliš byrokratické a ne vždy možné.

- Také není jasné, **zda PRIME je otevřený pro nové indikace nebo line extension**

Made with GAMMA

## Nařízené změny v SmPC („imposed labeling“)

**Nařízení, Art166;  
Směrnice Art29d, Art43**

**Směrnice, Art 48**

Návrh Evropské komise:

- regulační orgány mohou na základě důkazů z reálné praxe od třetích stran provést změny v jakékoli části souhrnu údajů o přípravku

- data týkající se bezpečnosti a účinnosti s dopadem na poměr přínosu a rizika přípravku

- platí pro registrované přípravky i přípravky v registračním řízení

Návrh Evropské komise

- „repurposing“ léčivého přípravku je způsob použití existujícího léku nebo kandidáta na lék pro novou léčbu nebo zdravotní stav, pro který nebyl dříve indikován.

- Evropská komise navrhuje, aby neziskové subjekty nebo jiné třetí strany mohly předkládat klinické a neklinické důkazy k léčivému přípravku (včetně mimo jeho schválené indikace) k hodnocení regulační autority.

Made with GAMMA

## „unmet medical need „ (UMN)

Nařízení Art.83; Směrnice Art.6, Art.19, Art.60, Art.70

- omezující definice může omezit přístup k inovativní léčbě
- větší bariéry pro nejlepší léčbu ve své třídě mohou zpomalit nebo omezit příchod nových léků do Evropy
- Evropská komise navrhuje přísnou definici UMN, která může vyloučit chronická onemocnění a onemocnění s významným dopadem na veřejné zdraví
- nemusí být plně rozpoznány terapeutické potřeby pacientů a dlouhodobé společenské potřeby
- UMN bude jedním z kritérií pro využití důležitých evropských regulačních procesů: PRIME, zrychlené hodnocení a podmíněná registrace
- omezené používání těchto procesů v EU zpochybňuje konkurenceschopnost regulačního rámce
- přísná definice UMN by mohla negativně ovlivnit schopnost EU konkurovat na mezinárodní scéně
- definice UMN by měla podporovat výzkum nejen život ohrožujících, ale i chronicky oslabujících onemocnění

Made with GAMMA

## Lepší reakce na nedostatek léčiv

- Nedostatek léčivých přípravků je v EU závažným problémem již několik let. Pandemie covidu-19 upozornila na naši závislost na třetích zemích, pokud jde o klíčové léčivé přípravky a složky, jakož i na nedostatky ve stávajících pravidlech.
- Cílem reformy je **zlepšit způsob sledování a řešení nedostatků**. Výrobci léčivých přípravků bude uložena povinnost informovat rychleji o nedostatku léčivých přípravků, vypracovat plány prevence a přijmout opatření k řešení kritického nedostatku. Navíc EU vypracuje seznam kriticky důležitých léčivých přípravků a bude monitorovat jejich dostupnost.
- Podle nových pravidel budou moci země EU také požadovat, aby společnosti dodávaly určité léčivé přípravky, které jsou chráněny regulačními opatřeními, jako je exkluzivita údajů nebo exkluzivita na trhu, v dostatečném množství, aby byly uspokojeny potřeby pacientů.

Made with GAMMA

## Akt o kriticky důležitých léčivých přípravcích

• Podle Evropské agentury pro léčivé přípravky (EMA) je kriticky důležitý léčivý přípravek definován **závažností onemocnění**, na jehož léčení se používá, a **dostupností alternativních způsobů léčby**. Zvažují se rovněž další kritéria, jako je počet členských států, které daný léčivý přípravek považují za zásadní.

• Mezi **příklady** kriticky důležitých léčivých přípravků patří:

- antibiotika
- Inzulin
- analgetika
- očkovací látky
- Léčivé přípravky na chronická a akutní onemocnění (např. nádorová onemocnění, onemocnění srdce, cukrovku)

• V posledních letech EU **v důsledku nedostatku** životně důležitých léčivých přípravků čelila **značným výzvám**. Tento nedostatek ovlivnil poskytování zdravotní péče, zvýšila se závislost na externích dodavatelích a narušily se systémy zdravotní péče v kritických obdobích, zejména jako následek pandemie covidu-19.

Cílem aktu je zlepšit dostupnost a bezpečnost zásadních léčivých přípravků a odolnost dodavatelského řetězce prostřednictvím:

- **diverzifikace dodavatelského řetězce** s cílem snížit závislost na omezeném počtu dodavatelů
- poskytování pobídek, pokud jde o **kolaborativní zadávání veřejných zakázek**, s cílem pomoci členským státům
- nakupovat léčivé přípravky efektivněji a snížit náklady
- **podpory farmaceutické výroby v EU** s cílem zajistit, aby se kriticky důležité léčivé přípravky vyráběly v EU, čímž
- se omezí závislost na třetích zemích

Made with GAMMA

## Udržitelnější farmaceutické přípravky

• Zbytky léčivých přípravků vznikající v důsledku výroby, používání a nesprávné likvidace znečišťují vodu a půdu, což představuje riziko pro životní prostředí a veřejné zdraví. Z provedených studií vyplývá, že antimikrobiální látky se nacházejí v životním prostředí, například ve vodních zdrojích, což může přispívat k antimikrobiální rezistenci.

• Na základě navrhovaných nových pravidel by se mohlo vyžadovat, aby společnosti, které chtějí uvést léčivé přípravky na trh, prováděly **posouzení rizik pro životní prostředí** a přijímaly opatření k jejich zmírnění.

Made with GAMMA

## Implementace „farmaceutického balíčku“

The adopted acts of the **new pharmaceutical legislation** are expected to enter into force in 2026.

The following two years, until 2028, will serve as a **transition period**. In this time interval, all EU Member States will need to update their national laws to align with the new rules.

In addition, the European Commission, EMA and EU Member States will provide **implementation guidance** to stakeholders.

### Timeline

- December 2025  
Political agreement on new pharmaceutical legislation
- 2026  
Adopted acts of the new pharmaceutical legislation enter into force
- 2026-2028  
Transition phase
  - EU Member States update their national laws to reflect the new rules
  - European Commission adopts implementing and delegated acts to help implement the new rules
  - EMA and national competent authorities develop implementation guidance and adapt their procedures and IT systems
- 2028  
New pharmaceutical legislation becomes applicable

Made with GAMMA

## Seznam zkratk

EK	Evropská komise (EC-European Commission)
EMA	Evropská léková agentura
EU	Evropská unie
LP	Léčivý přípravek
CME	Conditional Marketing Authorization (Podmínečná registrace)
UMN	Unmet Medical Need (Nenaplněná lékařská potřeba)
RMP	Risk Management Plan (Plán řízení rizik)

Made with GAMMA

Děkuji za pozornost.

Otázky?

„Na konci vždy vše dobře dopadne.  
A jestli to dobře nedopadlo,  
tak to potom ještě není konec.“

John Lennon



Reference:

AIFP – prezentace z RA working group (M. Prokopová, J. Urbánková)

SÚKL – prezentace se Seminář sekce registrací – aktuální témata Datum konání: 14. 5. 2025, webpages

EMA – webpages

Použité aplikace: Gamma, NotebookLM, ChatGPT

Made with GAMMA