

Aðgengi að mannalyfjum fyrir markaðssetningu eða áður en þau fá markaðsleyfi

Leiðbeiningar

Þessum leiðbeiningum er ætlað að útskýra í stórum dráttum hvaða leiðir eru færar til að veita sjúklingum aðgang að lyfjum áður en þau eru markaðssett eða áður en þau fá markaðsleyfi (eru skráð). Áhersla verður lögð á snemmbúið aðgengi að nýjum lyfjum án markaðsleyfis í gegnum prógrömm sem á ensku nefnast Early Access Programmes eða Managed Access Programm. Þar undir flokkast tvenns konar leiðir, þ.e. Notkun lyfja af mannúðarástæðum (NAM, e. Compassionate Use, CU) og Notkun á einstaklingsgrundvelli (e. named patient program, NPP). Undirstrikað verður mikilvægi þess að gera greinarmun á þessu tvennu.

Almenna reglan – skráð og markaðssett lyf

Langflest lyf sem seld eru í apótekum á Íslandi hafa markaðsleyfi frá Lyfjastofnun og þau fást hérlendis vegna þess að markaðsleyfishafi (MLH) þeirra hefur ákveðið að markaðssetja þau á Íslandi. Markaðsleyfi Lyfjastofnunar (skráning lyfs) er forsenda fyrir markaðssetningu, markaðssetning felur í sér birtingu lyfs í lyfjaverðskrá og sérlyfjaskrá.

Í lyfjaverðskrá er að finna lyf sem hafa fengið samþykkt [hámarks heildsöluverð \(HHSV\)](#) hjá Lyfjastofnun. Þessi lyf eru annað hvort ekki markaðssett, svokölluð undanþágulyf, með samþykkt HHSV, og hins vegar lyf sem eru markaðssett og með samþykkt HHSV. Lyfjaverðskrá er grunnur að Sögukerfinu sem er ávísunarkerfi í eigu Embættis Landlæknis.

Í sérlyfjaskrá eru lyf sem hafa markaðsleyfi og eru markaðssett, þ.e. engar upplýsingar er að finna um undanþágulyf í sérlyfjaskrá.

Aðrar leiðir – sérstakar kringumstæður

Meginreglan er sú að útgefið markaðsleyfi frá Lyfjastofnun er grundvöllur þess að selja megi lyf á Íslandi, en í 11. gr. lyfjalaga kemur fram að *“Einungis er heimilt að markaðssetja hér á landi lyf sem Lyfjastofnun hefur veitt markaðsleyfi fyrir.”* Á þessu eru nokkrar undantekningar sem geta veitt sjúklingum aðgengi að lyfjum og veitt læknum heimild til að ávísar lyfjum sem ekki hafa markaðsleyfi og/eða hafa ekki verið markaðssett. Aðgengi að lyfjum áður en þau eru markaðssett eða áður en þau fá markaðsleyfi er í megindráttum

hægt að fá með þremur leiðum, í gegnum: klínískar rannsóknir, með heimild læknis til að ávísa undanþágulyfjum og í gegnum prógrömm á vegum MLH.

1. Klínískar rannsóknir

Um klínískar rannsóknir – Klínísk lyfjarannsókn er kerfisbundin rannsókn á lyfi í þeim tilgangi að afla þekkingar eða staðfesta þekkingu á verkun, milliverkun, aukaverkun, lyfjahvörfum eða rannsaka lækningalegt gildi. Í flestum tilfellum er um að ræða lyf án markaðsleyfis en einnig eru rannsóknir gerðar á nýjum notkunarmöguleikum lyfja sem eru með markaðsleyfi og eru markaðssett.

Lagastoð – Reglugerð um klínískar prófanir á mannalyfjum nr. 1311/2021, sett með stoð í 22. gr. lyfjalaga nr. 100/2020 og 34. gr. laga nr. 44/2014 um vísindarannsóknir á heilbrigðissviði.

Lyfjaávísun lækna - Lyf sem rannsökuð eru í klínískum rannsóknum er ekki ávísað í gegnum ávísanakerfi lækna, til dæmis Sögukerfið, sem byggir á lyfjaverðskrá eða lyfjagagnagrunn embættis landlæknis.

Ítarefni - Nánar má lesa um klínískar rannsóknir á vefsíðu LST, sjá [her](#).

2. Undanþágulyf með samþykkt hámarks heilðsöluverð

Um undanþágulyf – Þessi kafli fjallar um undanþágulyf sem hafa fengið samþykkt hámarks heilðsöluverð (HHSV) hjá Lyfjastofnun, þau eru birt í lyfjaverðskrá. Undanþágulyf eru ekki markaðssett og ekki er hægt að nálgast upplýsingar um þau í sérlyfjaskrá. Undanþágulyf þurfa að sumu leyti ekki að uppfylla sömu kröfur og lyf sem eru markaðssett, til dæmis eru upplýsingar um lyfið á innri og ytri umbúðum ekki á íslensku, markaðsleyfishafa ber ekki lagaleg skylda til að tilkynna um lyfjaskort og ekki þarf að uppfylla skilyrði um fræðsluefni o.s.frv. Ástæður fyrir því að ávísa þarf undanþágulyfi er til dæmis þegar upp kemur skortur á markaðssettu lyfi (lyf ekki fáanlegt), eða ekkert lyf er markaðssett við ákveðnum sjúkdómum. Undanþágulyfjum má skipta gróflega í tvennt eftir því hvort markaðsleyfi er til staðar eða ekki:

- **Undanþágulyfið hefur markaðsleyfi (skráð) á Íslandi eða á Evópska efnahagssvæðinu og er ekki markaðssett** - Það er ákvörðun markaðsleyfishafa hvort lyf eru markaðssett hér á landi eða ekki. Í þessum

tilfellum er texti á umbúðum og fylgiseðill ekki á íslensku. Þá þarf að tryggja upplýsingagjöf til sjúklinga. Meðferðarlæknir ber meðal annars ábyrgð á að gera sjúklingi grein fyrir mögulegum aukaverkunum og öðrum upplýsingum sem kunna að vera nauðsynlegar við notkun lyfsins.

- **Undanþágulyfið hefur ekki markaðsleyfi (óskráð) á Íslandi eða í öðru ríki á Evrópska efnahagssvæðinu** – Hafi lyfið ekki markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu, sem er sjaldgæft, ber læknir alfarið ábyrgð á ávísun og verkun lyfsins sem um ræðir, [sbr. 12. gr. lyfjalaga nr. 100/2020](#), [Hér](#) er listi yfir lyf með markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu.

Lagastoð – heimild læknis til að ávísa lyfi án markaðsleyfis, sem er sama heimild og ávísun undanþágulyfja. [Sbr. 2. og 3. mgr. 11. gr. lyfjalaga nr. 100/2020 og undanþágulyf sbr. 12. gr. lyfjalaga nr. 100/2020.](#)

Lyfjaávísun lækna - Læknir getur ávísað undanþágulyfjum, sem hafa fengið samþykkt hámarks heilðsöluverð hjá Lyfjastofnun og eru birt í lyfjaverðskrá, til einstaklinga með tvennum hætti. Í fyrsta lagi í gegnum ávísanakerfi, til dæmis Sögukerfið, eða í gegnum [lyfjagagnagrunn Embættis Landlæknis](#). Öllum fyrirspurnum varðandi gagnagrunninn og Sögukerfið ætti að beina til Embættis landlæknis sem rekur þessi kerfi.

Lyfjastofnun hefur ekki heimild til að samþykkja undanþágulyfseðil ef fyrir er í lyfjaverðskrá sams konar markaðssett lyf, ekki nema markaðssetta lyfið sé í birgðaskorti eða læknir færir rök fyrir því hvers vegna ekki er hægt að nota markaðssett lyf.

Ítarefni - Nánar má lesa um undanþágulyf á vefsíðu LST, [hér](#)

3. **Snemmbúinn aðgangur að nýju lyfi án markaðsleyfis í gegnum prógrömm (e. Early Access Programmes eða Managed Access Programm)**

Mörg hugtök eru til á ensku og íslensku yfir það þegar sjúklingum er veittur aðgangur að lyfjum án markaðsleyfis í gegnum skilgreind prógrömm. [Dæmi um slík hugtök eru Compassionate Use program, Early Access Program, Named patient program, Managed Access Program, Pre Licence Patient Use, og stundum er þessu ruglað saman við notkun utan samþykkrar ábendingar \(e. off label use\).](#) Mikilvægt er að skilgreina og skýra hugtök með það að markmiði að auka gagnsæi og skýrleika. Staðreyndin er sú að milli landa Evrópska efnahagssvæðisins eru þessi hugtök ekki stöðluð, sem veldur ruglingi; dæmi eru um að sama hugtak sé notað yfir ólíka hluti. Óháð þessum hugtakaruglingi eiga þau það sammerkt að veita snemmbúinn aðgang að nýjum lyfjum áður en lyfið fær markaðsleyfi, þ.e. er skráð. Hér á eftir verður leitast við að skilgreina þessi hugtök til samræmis við skilgreiningu [Lyfjastofnunar Evrópu \(e. European Medicine Agency, EMA\)](#) og [Heads of Medicine Agencies \(HMA\)](#)

Ofangreind prógrömm skiptast í tvo flokka, annars vegar notkun lyfja af mannúðarástæðum (NAM, e. Compassionate Use, CU) og hins vegar notkun lyfja á einstaklings grundvelli (e. named patient program, NPP). Heimild lækna og ábyrgð vegna ávísunar lyfja í þessum prógrömmum byggir á ólíkum laga- og reglugerðarheimildum. Því er mjög mikilvægt að gera greinarmun á þessum tveimur flokkum.

Notkun lyfja af mannúðarástæðum (NAM, e. Compassionate Use, CU).

Lyfjastofnun hefur heimild til að veita leyfi svo hægt sé að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum (NAM). Lyf sem eru notuð af mannúðarástæðum hafa ekki markaðsleyfi á evrópska efnahagssvæðinu. Notkun lyfja af mannúðarástæðum felur í sér að gera tiltekið lyf aðgengilegt af mannúðarástæðum fyrir hóp (e. cohort) sjúklinga með sjúkdóm sem veldur langvarandi eða alvarlegri fötlun, eða sjúkdóm sem er talinn vera lífshættulegur og sem ekki er hægt að meðhöndla á viðunandi hátt með lyfi sem hefur markaðsleyfi á evrópska efnahagssvæðinu. Umsókn um miðlægt markaðsleyfi (Centralized procedure, CP) fyrir lyfið skal liggja fyrir eða klínískar prófanir á því hafi verið heimilaðar.

Í 11. gr. lyfjalaga kemur fram að einungis sé heimilt að markaðssetja þau lyf hér á landi sem Lyfjastofnun hefur veitt markaðsleyfi. Þrátt fyrir þetta ákvæði er af mannúðarástæðum heimil notkun á takmörkuðu magni mannalyfja sem ekki hafa fengið markaðsleyfi hér á landi, í samræmi við reglugerð sem ráðherra setur um skilyrði fyrir að leyfi sé veitt til notkunar lyfja af mannúðarástæðum, sbr. 13. gr. lyfjalaga. Er ákvæðið hluti af innleiðingu reglugerðar Evrópuþingsins og ráðsins [nr 726/2004](#). Reglugerð nr. 424/2023 um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum tók gildi í apríl 2023.

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,
- d. fullnægjandi vísbendingar liggja fyrir um að sambandið á milli áhættu og ávinnings lyfsins sé talið að mestu leyti jákvætt fyrir viðkomandi sjúklingahóp.

Heads of Medicine Agencies (HMA) og Lyfjastofnun Evrópu (EMA) hafa gefið út leiðbeiningar og upplýsingar um NAM (e. CU):

- a. HMA- [Compassionate use program \(hma.eu\)](#), Timely Access hópur [2018_09_CUP_27-6-18.pdf \(hma.eu\)](#)
- b. EMA [Compassionate use | European Medicines Agency \(europa.eu\)](#). Spurt og svarað, [hér](#). Leiðbeiningar, [hér](#)

Notkun á einstaklingsgrundvelli í gegnum prógramm (e. named patient program, NPP).

NPP byggir á heimild læknis til notkunar lyfja án markaðsleyfis, sama heimild og til ávísunar undanþágulyfja. Heimild lækna til ávísunar undanþágulyfja byggir á 12. gr. lyfjalaga, sbr. tilskipun Evrópuþings og ráðsins [Article 5\(1\) of Directive 2001/83/EC](#).

Hafa þarf í huga að ávísun undanþágulyfja án markaðsleyfis í gegnum NPP, sem stundum eru hinu opinbera og sjúklingum að kostnaðarlausu, er með ólíkum hætti en ávísun undanþágulyfja sem finna má í lyfjaverðskrá og eru með skráð hámarks heilðsöluverð (HHSV). Ef MLH útvegar undanþágulyf í gegnum NPP án kostnaðar er lyfinu ávísað í gegnum Mínar síður á vef Lyfjastofnunar. Læknir ávísar lyfinu á einstakling, líkt og nafn prógrammsins ber með sér, þ.e. named patient program (NPP). Athuga skal þó að það felur ekki í sér að einungis einn sjúklingur geti fengið lyfinu ávísað.

Ekki þarf að sækja um heimild til Lyfjastofnunar fyrir NPP þar sem læknir hefur heimild til að ávísa lyfjum án markaðsleyfis, þ.e. undanþágulyfjum, en mikilvægt er að huga að því áður en meðferð er hafin hvernig koma skal í veg fyrir meðferðarrof þegar fyrirtæki ákveður að loka prógrammi; sjá nánar töflu hér fyrir neðan, Spurt og svarað.

Spurt og svarað um mun á milli Notkunar lyfja af mannúðarástæðum (e. Compassionate Use) og notkun á einstaklings grundvelli í gegnum program (e. Named patient program)

	Notkun lyfja af mannúðarástæðum (NAM, e. Compassionate Use, CU) (Cohort)	Á einstaklings grundvelli (e. Named patient program, NPP)
Lagagrundvöllur	Um leyfi til notkunar lyfja af mannúðarástæðum er fjallað í 13. gr. lyfjalaga sem snýr að heimild til notkunar á takmörkuðu magni mannalyfja sem ekki hafa fengið markaðsleyfi hér á landi. Með ákvæðinu er 83. gr. reglugerðar Evrópuþingsins og ráðsins nr 726/2004 innleidd . Þá er ákvæðið nánar útfært í reglugerð um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum nr. 424/2023, sjá hér .	Heimild læknis til notkunar lyfja án markaðsleyfis, sem er <u>sama heimild</u> og heimild læknis til notkunar undanþágulyfs, sbr. 2. og 3. mgr. 11. gr. lyfjalaga nr. 100/2020 og undanþágulyf sbr. 12. gr. lyfjalaga nr. 100/2020 . Sjá einnig á vefsíðu EMA undirkaflann " Comparison to individual basis treatment ".
Staða lyfs	Umsókn um miðlægt markaðsleyfi lyfs (Central Procedure, CP) 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.	Ákvörðun fyrirtækis (MLH/umboðsaðila)

<p>Hver sækir um heimild fyrir prógrammi til Lyfjastofnunar?</p>	<p>Fyrirtæki (MLH eða umboðsaðili) sækir um. Umsækjandi er jafnframt 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 er sótt um leyfi til Lyfjastofnunar. Umsóknareyðublað er að finna á vef Lyfjastofnunar undir útgefið efni → eyðublöð. Gögn sem þurfa að fylgja með eru talin upp á umsóknareyðublaði.</p>	<p>Ekki þarf að sækja um heimild fyrir NPP til Lyfjastofnunar. Meðferðarlæknir á samskipti við fyrirtæki (markaðsleyfishafa eða umboðsaðila) um að fá aðgang að lyfi í gegnum NPP.</p>
<p>Ákvörðun umsóknar og tímalínur</p>	<p>Til að hægt sé að meta umsókn þurfa öll skilyrði að vera uppfyllt og öll gögn skulu hafa borist skv. umsóknareyðublaði. Greiðsla þarf að hafa farið fram skv. gjaldskrá. Eftir að álit mannalyfjanefndar Lyfjastofnunar Evrópu (e. Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)) liggur fyrir skal Lyfjastofnun afgreiða umsókn um leyfi til að bjóða fram lyf til notkunar af mannúðarástæðum innan 35 virkra daga.</p>	<p>Á ekki við.</p>

<p>Parf samþykki EMA fyrir prógramminu?</p>	<p>Áður en Lyfjastofnun veitir leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum skal liggja fyrir álit frá CHMP sem gefið er út í samráði við umsækjandann, um skilyrði fyrir notkun og dreifingu, og þá sjúklinga sem lyfið eiga að fá. Sjá lista yfir NAM (e. CU) sem hlotið hafa umsögn CHMP; hér. Þar má finna skilyrði fyrir notkun, dreifingu, skilgreiningu sjúklingahóps ofl.</p>	<p>Nei</p>
<p>Ber Lyfjastofnun að upplýsa EMA um ákvörðun LST?</p>	<p>Já</p>	<p>Nei</p>
<p>Ber Lyfjastofnun skylda til að birta lista á vef yfir prógrömm?</p>	<p>Já, skv. reglugerð er það skylda. Til samanburðar má finna lista yfir prógrömm sem samþykkt hafa verið í Svíþjóð og Noregi, sjá hér:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Noregur - Compassionate use program ENG 2023-08-16.pdf (legemiddelverket.no) • Svíþjóð - Pågående godkända CUP Läkemedelsverket (lakemedelsverket.se) 	<p>Nei Lyfjastofnun getur ákveðið að gera það.</p>

<p>Parf heimild heilbrigðisstofnunar sem meðferðarlæknir starfar hjá?</p>	<p>Skv. reglugerð skal meðferðarlæknir óska eftir samþykki framkvæmdastjóra lækninga á þeirri heilbrigðisstofnun sem hann starfar hjá áður en hann óskar eftir aðgengi að lyfi frá umsækjanda.</p> <p>Eingöngu meðferðarlæknir, fyrir hönd sjúklings, getur óskað eftir aðgengi að lyfi frá umsækjanda, eftir að sá hefur fengið leyfi frá Lyfjastofnun til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum.</p>	<p>Ekki er fjallað um þetta í lögum eða reglugerðum en æskilegt er áður en meðferð er hafin að meðferðarlæknir hafi samráð við stjórnendur þeirrar heilbrigðisstofnunar sem hann starfar hjá og í sameiningu sé gerð áætlun til þess að koma í veg fyrir meðferðarrof sjúklings þegar prógrammi lýkur.</p>
<p>Hvaða kröfur eru um áletranir umbúða og fylgiseðla á meðan prógramm er opið?</p>	<p>Upplýsingar um lyfið, svo sem drög að samantekt á eiginleikum lyfs, fylgiseðill eða áletranir skulu vera aðgengilegar</p>	<p>Sömu kröfur og eiga við um undanþágulyf, sjá spurningu um lagagrundvöll.</p>
<p>Hvaða gögn liggja til grundvallar?</p>	<p>Rannsóknaráætlun (e. protocol) og upplýsingar um lyfið, skulu vera aðgengilegar, svo sem drög að samantekt á eiginleikum lyfs, fylgiseðill eða áletranir.</p>	<p>Ákvörðun fyrirtækis (MLH eða umboðsaðila)</p>

Prógramm hefst – hægt að hefja meðferð

<p>Tilkynning umsækjanda</p>	<p>Skv. reglugerð skal umsækjandi árlega senda Lyfjastofnun lista yfir þann sjúklingahóp sem notar lyfið, og upplýsingar um uppfært mat á sambandi milli áhættu og ávinnings. Sjá nánar í reglugerð.</p>	<p>Á ekki við, Lyfjastofnun getur óskað eftir upplýsingum frá fyrirtæki (markaðsleyfishafa eða umboðsaðila).</p>
<p>Hvernig er lyfi ávísað í prógrammi á meðan það er í gangi?</p>	<p>Meðferð er ekki ávísað með hefðbundnum hætti eins og í gegnum ávísunarkerfi lækna, Mínar síður Lyfjastofnunar eða lyfjagagnagrunn Embættis Landlæknis. Afhending lyfs er lík því sem geristí klínískum rannsóknum, þ.e. í samstarfi við umsækjanda (MLH eða umboðsaðila).</p>	<p>Ef fyrirtæki útvegar lyfið gjaldfrjálst er sótt um heimild til notkunar undanþágulyfs fyrir ákveðinn sjúkling í gegnum Mínar síður á vef Lyfjastofnunar. Ef fyrirtæki útvegar lyfið ekki án kostnaðar sækir það um hámarks heildsöluverð til Lyfjastofnunar. Lyfið er þá birt sem undanþágulyf í lyfjaverðskrá og því ávísað eins og öðrum undanþágulyfjum í gegnum ávísanakerfi eða lyfjagagnagrunn embættis landlæknis.</p>
<p>Hver er ábyrgð læknis ?</p>	<p>Svipuð ábyrgð og í klínískum rannsóknum, sjá reglugerð hér, Meðal annars kemur þar fram að meðferðarlæknir skal upplýsa sjúkling áður en notkun lyfs hefst, um að ekki sé hægt að tryggja áframhaldandi meðferð né</p>	<p>Sama ábyrgð og við ávísun undanþágulyfs. Meðferðarlæknir ber ábyrgð á að upplýsa sjúkling um að lyfið sem ávísað er hafi ekki íslenskt markaðsleyfi, ásamt því að gera sjúklingi grein fyrir mögulegum aukaverkunum og öðrum upplýsingum sem</p>

	<p>greiðsluþátttöku ríkisins í lyfjakostnaði eftir að prógrammi lýkur.</p> <p>Umsækjandi (MLH eða umboðsaðili) skal upplýsa meðferðarlækni um allar breytingar á leyfi til að bjóða lyf til notkunar af mannúðarástæðum án tafar og allar aukaverkanir lyfs.</p> <p>Meðferðarlæknir skal tilkynna bæði Lyfjastofnun og umsækjanda um aukaverkanir lyfs sem sjúklingur hans finnur fyrir.</p>	<p>kunna að vera nauðsynlegar við notkun lyfsins. Hafi lyfið ekki markaðsleyfi í öðru ríki á Evrópska efnahagssvæðinu ber læknir alfarið ábyrgð á ávísun og verkun lyfsins sem um ræðir, sbr. Lyfjalög nr 100 /2020, 12.gr. Hér er listi yfir lyf með markaðsleyfi á Evrópska efnahagssvæðinu.</p>
<p>Hver greiðir fyrir kostnað lyfjameðferðar á meðan prógramm er í gangi, þ.e. á meðan enn er hægt er að taka inn nýja sjúklinga?</p>	<p>Skv. reglugerð skal umsækjandi (MLH eða umboðsaðili) greiða þar til prógrammi lýkur, þ.e. ekki er lengur hægt að setja nýja sjúklinga í prógrammið.</p> <p>Mjög mikilvægt er áður en prógramm hefst, að reyna að tryggja að ekki verði meðferðarrof hjá sjúklingum, til dæmis með samkomulagi við fyrirtækið (MLH eða umboðsaðila) um áframhaldandi meðferð þeirra sjúklinga sem hafa hafið meðferð þegar prógrammi lýkur. Ekki er hægt að gera ráð fyrir að hið opinbera taki þátt í greiðslu meðferðarinnar án þess að búið sé að samþykka greiðsluþátttöku í einhverju viðmiðunarlandanna, og/eða að fyrir liggi samningur um verð lyfsins, sbr. nr 1414/2020, um verðlagningu lyfja og greiðsluþátttöku í lyfjum</p> <p>Gagnlegt er að meðferðarlæknir hafi samráð við stjórnendur heilbrigðisstofnunarinnar sem hann starfar hjá áður en sjúklingur er settur á meðferð, til að reyna að minnka líkur á meðferðarrofi þegar prógrammi lýkur.</p>	<p>Samkomulag milli meðferðarlæknis, þeirrar heilbrigðisstofnunar sem hann vinnur hjá og fyrirtækis (MLH eða umboðsaðila).</p>

	Sjá nánar hér fyrir neðan svör við spurningunni “Hver greiðir fyrir kostnað lyfjameðferðar eftir að prógrammi lýkur?”	
Prógrammi lýkur – ekki hægt að hefja meðferð nýrra sjúklinga		
Hvenær lokar prógrammi?	Skv. reglugerð skal umsækjandi tilkynna Lyfjastofnun innan 30 daga ef lyfið hefur fengið samþykkt markaðsleyfi innan Evrópska efnahagssvæðisins, eða ef klínískri prófun lyfsins er hætt. Einnig getur Lyfjastofnun stöðvað prógrammið, sjá 14.gr. nr. 424/2023	Ákvörðun fyrirtækis, í síðasta lagi þegar lyf er markaðssett. Eftir að lyf er markaðssett hefur Lyfjastofnun ekki heimild til að samþykkja undanþágulyfseðla skv. 12. gr. lyfjalaga nr. 100/2020.
Hverskonar skráningarferill liggur að baki markaðsleyfinu?	Miðlæg skráning (Centralized procedure) . Miðlægt ferli er notað þegar sótt er um markaðsleyfi fyrir allt EES-svæðið, t.d. fyrir líftæknilyf, lyf gegn tilteknum sjúkdómum og önnur ný lyf. Umsóknir eru sendar til Lyfjastofnunar Evrópu (EMA). Mannalyfjanefnd (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) EMA tekur að sér að meta umsóknir.	Ákvörðun fyrirtækis (MLH eða umboðsaðila).

Hver greiðir fyrir kostnað við áframhaldandi lyfjameðferð eftir að prógrammi lýkur og hvernig er meðferðinni ávísað?

Þegar fyrirtæki (MLH eða umboðsaðili) ákveður að ljúka prógrammi, þ.e. ákveður að ekki sé lengur hægt að hefja meðferð nýrra sjúklinga, vaknar spurning um hver á að greiða fyrir áframhaldandi meðferð. Mikilvægt er áður en prógramm hefst að reyna að tryggja að ekki verði meðferðarrof hjá sjúklingum.

Fyrirtækið getur ákveðið að veita áframhaldandi meðferð án kostnaðar fyrir sjúklinga sem eru í prógramminu þegar því lýkur. Í þessu tilfalli er meðferð áfram ávísað með sama hætti, þ.e. meðferðarlæknir sækir um heimild til notkunar undanþágulyfs fyrir ákveðinn sjúkling í gegnum Mínar síður á vef Lyfjastofnunar. Fyrirtæki getur til dæmis ákveðið að útvega áframhaldandi meðferð að kostnaðarlausu, til dæmis þar til hið opinbera má og getur tekið við greiðslu meðferðar skv. [lögum og reglugerðum](#). Það getur til dæmis verið þannig að lyf verði að fara í gegnum sameiginlegt heilbrigðistækniat Norðurlandanna, Joint Nordic HTA-Bodies (JNHB, áður FINOSE), áður en hið opinbera getur eða má taka ákvörðun um hvort greiða skal fyrir meðferðina eða ekki í viðkomandi landi.

Fyrirtækið getur líka ákveðið að hætta að útvega meðferðina áfram án kostnaðar. Þá er hætta á meðferðarrofi. ef fyrirtækið óskar eftir því að hið opinbera greiði áframhaldandi meðferð, gildir reglugerð, [nr 1414/2020, um verðlagningu lyfja og greiðslupátttöku í lyfjum](#) Ekki er hægt að gera ráð fyrir að hið opinbera taki við greiðslu meðferðarinnar án þess að búið sé að samþykkja greiðslupátttöku í einhverju viðmiðunarlandanna, og/eða fyrir liggi sameiginlegt heilbrigðistækniat Norðurlandanna og/eða samningur um verð lyfsins.

Athuga skal að það er á ábyrgð meðferðarlæknis skv. reglugerð að upplýsa sjúkling, áður en notkun lyfs hefst í gegnum NAM, að ekki sé hægt að tryggja áframhaldandi meðferð né

	<p>greiðslupátttöku ríkisins í lyfjakostnaði eftir að NAM lýkur. Þess vegna er mikilvægt að hnýta alla lausa enda áður en meðferð hefst. Í grófum dráttum getur fyrirtækið valið um tvær leiðir:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Markaðssetja lyfið – Fyrirtæki sækir um verð og greiðslupátttöku til Lyfjastofnunar. Forsendur ákvörðunar eru meðal annars ávinningur meðferðar, staða greiðslupátttöku í viðmiðunarlöndunum sem eru Norðurlöndin, og kostnaður/samningur um verð. 2. Nota undanþágukerfið – Fyrirtæki sækir um hámarksheildsöluverð fyrir undanþágulyf til Lyfjastofnunar og lyfið er birt sem undanþágulyf í lyfjaverðskrá. Meðferðarlæknir sækir um einstaklingsbundna greiðslupátttöku til lyfjanefndar Landspítala og lyfi er ávísað í gegnum ávísanakerfi.
<p>Hvaða kröfur eru um áletranir umbúða og fylgiseðla eftir að fyrirtæki ákveður að ljúka prógrammi?</p>	<p><u>Ef lyf er ekki markaðssett, þ.e undanþágulyf</u> – Engar kröfur eru um áletranir umbúða og fylgiseðla fyrir undanþágulyf.</p> <p><u>Þegar lyf er markaðssett</u> – lyf þarf að uppfylla kröfur um áletranir umbúða og fylgiseðla, sjá hér.</p> <p>Sjá reglur og undanþágur frá áletrunum hér.</p> <p>Athygli er vakin á verkefninu rafrænir fylgiseðlar fyrir H merkt lyf, hér.</p>

