

## پیش نویس ضابطه تسهیل دسترسی به داروهای اورفان

### مقدمه:

این ضابطه جهت تسهیل شرایط برای دسترسی به داروهای اورفان تدوین شده است. موارد ابلاغی در این ضابطه براساس « سند ملی بیماری‌های نادر» به شماره ۹۰۷ مورخ ۱۴۰۲/۱/۶ ابلاغیه معاون اول محترم ریاست جمهوری، توسط سازمان غذا و دارو تدوین گردیده است.

### ماده ۱- تعاریف:

- **اداره کل:** اداره کل امور دارو و مواد تحت کنترل سازمان غذا و دارو.
- **بیماری نادر:** یک گروه بزرگ (حدود ۷۰۰۰ نوع بیماری) از بیماری‌ها هستند که با شیوع کم، با حد آستانه کمتر از ۴ در ۱۰۰۰۰ نفر در جمعیت ایران مشخص می‌شوند و اغلب با مشکلاتی در تشخیص و درمان همراه هستند.
- **داروی اورفان:** به دارویی اطلاق می‌شود که برای درمان یک بیماری/ تایپ بیماری نادر تهدید کننده حیات یا مزمن شدیداً ناتوان کننده و دارای تمامی خصوصیات زیر استفاده شود:
  ۱. در فهرست رسمی دارویی کشور در گروه داروهای اورفان قرار داشته باشد.
  ۲. دارو صرفاً برای درمان بیماری‌های نادر مندرج در فهرست بیماری‌های نادر اعلام شده توسط معاونت درمان وزارت بهداشت استفاده شود.
  ۳. وفق استعلام از دفتر کل پایش و نظارت بر فرآورده‌های سلامت، اندیکاسیون دیگری برای درمان سایر بیماری‌ها نداشته و درمان دیگری در ایران برای بیماری نادر مورد نظر وجود نداشته باشد.

**ماده ۲- فرآیند ورود این داروها به فهرست رسمی دارویی کشور، ثبت و صدور مجوزهای توزیع مطابق ضوابط جاری در اداره کل می‌باشد، جهت تسهیل شرایط دسترسی بیماران به این داروها موارد زیر مدنظر قرار خواهند گرفت:**

**ماده ۲.۱- در بررسی پرونده‌ها جهت ورود به فهرست داروهای ایران، داروهای اورفان از لحاظ زمانی در اولویت هستند و حداکثر تا دو ماه پس از دریافت مدارک و مستندات لازم از شرکت، تعیین تکلیف می‌شوند.**

**ماده ۲.۲- در ارزیابی اقتصادی این داروها جهت ورود به فهرست رسمی داروهای ایران، افزایش آستانه هزینه اثربخشی با در نظر گرفتن ضریب عدالت و کارایی مطابق ضابطه «ارائه‌ی پرونده‌ی ارزیابی اقتصادی داروها» و حداکثر تا ۱۰ برابر GDP per capita میسر خواهد بود.**

**ماده ۲.۳- پرونده داروهای اورفان شیمیایی جهت ارزیابی در مسيربندی یک قرار می‌گیرند.**

تبصره ۱: در صورت وجود پروانه فعال و تامین حداقل نیمی از نیاز بازار، تعیین مسیر بررسی دومین متقاضی همان داروی اورفان در مسیر سه صورت خواهد گرفت. لازم به ذکر است بر حسب شرایط کشور و بیماران، به تشخیص اداره کل، امکان صدور مسیر بندی یک، صرفاً برای تولید کننده دوم وجود خواهد داشت.

تبصره ۲: به ازای تولید هر داروی اورفان جدید که پیش از این فاقد تولیدکننده بوده و تامین حداقل نیمی از نیاز بازار، وفق درخواست شرکت به یک پرونده از سایر محصولات شرکت، مسیربندی یک اعطا می‌گردد. در صورتی که شرکت تولید کننده نتواند از این امتیاز استفاده کند، این امتیاز برای یکبار قابل انتقال است.

**ماده ۲.۴-** اولین بازرسی فنی جهت اعطای گواهی‌های کیفی حداکثر تا یک ماه پس از درخواست شرکت صورت می‌پذیرد.

**ماده ۲.۵-** حسب تشخیص اداره کل جهت تولید داروهای اورفان، بچ سایز بر اساس مقیاس تولید قابل تعیین بوده و سایت تولید سایز کوچک مورد قبول است.

**ماده ۲.۶-** داروهای اورفان حداکثر تا ۱۲۰ درصد قیمت برند اصلی در ایران، کشور تولیدکننده یا کشورهای مرجع و با در نظر گرفتن سایر ملاحظات ذکر شده در ضابطه «قیمت گذاری داروها در سازمان غذا و دارو» قیمت گذاری می‌شود.

**ماده ۲.۷-** در صورتی که تعداد بیمار مبتلا به یک بیماری نادر در کل کشور کمتر از ۱۰۰۰ بیمار باشد، به منظور صدور مجوز ورود به بازار فرآورده مورد استفاده برای درمان این بیماری، بایستی مطالعه بالینی با هدف نشان دادن قابل مقایسه بودن اثربخشی و ایمنی

و

(safety & efficacy) داروی تولید داخل با فرآورده مرجع در حداقل ۱۰ درصد از بیماران (نباید حجم نمونه از ۱۰ نفر کمتر باشد و ارائه داده های مربوط به حداقل ۱۰ بیمار الزامی است) انجام شود.

به موازات ورود دارو به بازار، جهت تمدید پروانه فرآورده، انجام مطالعات Post-marketing مطابق با نظر اداره کل جهت ارائه اطلاعات تکمیلی در خصوص ایمنی و اثربخشی فرآورده توسط شرکت الزامی است.

**ماده ۲.۸-** ارائه گزارشات دوره‌ای ایمنی فرآورده (PSUR/PBERER) پس از ورود به بازار، در بازه زمانی سالانه، برای کلیه داروهای اورفان تا زمان تمدید پروانه الزامی است و پس از آن مطابق ضوابط جاری خواهد بود.

**ماده ۲.۹.** اعلام نظر سازمان غذا و دارو به بانک مرکزی در خصوص تخصیص ارز داروهای اورفان حداکثر طی دو هفته صورت خواهد پذیرفت.

**ماده ۲.۱۰.** صادرات داروهای اورفان، مشروط به اعلام قبلی برنامه تامین بازار به اداره کل و رعایت تعهدات، بی نیاز از اخذ مجوز مربوطه خواهد بود.

ماده ۲.۱۱. مشوق های مرتبط با حوزه مواد اولیه، مطابق با چهارچوب ارائه شده در این ضابطه، قابل تعمیم به تولید مواد اولیه

داروهای اورفان نیز می باشد.

پیش نویس ضابطه داروهای اورفان