

Désignation orpheline

Une désignation orpheline est un statut spécial pour un médicament utilisé pour traiter une condition ou une maladie rare. Une désignation orpheline est adoptée par le Comité des médicaments orphelins (COMP – Committee for Orphan Medicinal Products) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et confirmée par la Commission européenne (CE) avant que l'autorisation de mise sur le marché soit accordée.

Pour obtenir la désignation de médicament orphelin, un médicament doit satisfaire à un certain nombre de critères :

(1) Il doit être destiné au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie qui est potentiellement mortelle ou chroniquement invalidante.

(2) La condition ne doit pas affecter plus de 5 individus sur 10 000 dans l'UE, ou il doit être improbable que la vente du médicament génère des revenus suffisants pour justifier l'investissement nécessaire à son développement.

(3) Il n'existe pas de méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de la maladie, ou si une telle méthode existe, le médicament en question doit apporter un bénéfice significatif aux patients concernés.

Les développeurs de médicaments qui obtiennent un avantage de désignation orpheline grâce à un certain nombre de mesures incitatives. Les mesures incitatives incluent un conseil scientifique spécifique et une exclusivité commerciale de 10 ans. L'exclusivité commerciale signifie que, durant cette période, aucun autre médicament pour la même condition ne se verra accorder une autorisation de mise sur le marché. Des réductions des frais pour des applications liées à des services de l'Agence européenne des médicaments (EMA) peuvent également être disponibles.