

Designazione orfana

La designazione orfana è uno status speciale relativo a un farmaco utilizzato per trattare una malattia o un disturbo raro. Una designazione orfana viene adottata dal Comitato per i prodotti medicinali orfani (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e confermata dalla Commissione Europea (CE) prima della concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Per qualificarsi alla designazione di prodotto medicinale orfano, un prodotto medicinale deve soddisfare determinati criteri:

(1) Deve avere come obiettivo il trattamento, la prevenzione o la diagnosi di una malattia che è pericolosa per la vita o cronicamente debilitante.

(2) Il disturbo deve colpire non più di 5 persone su 10.000 nell'UE oppure deve essere improbabile che le vendite del farmaco saranno sufficienti a giustificare l'investimento necessario per il suo sviluppo.

(3) Non esiste alcun metodo soddisfacente di diagnosi, prevenzione o trattamento del disturbo o, se esiste, il farmaco in questione deve fornire un beneficio significativo per coloro che sono affetti dal disturbo.

Gli sviluppatori dei medicinali che ottengono una designazione orfana beneficeranno di una serie di incentivi. Questi comprendono una consulenza scientifica specifica e un'esclusività per il mercato di 10 anni. L'esclusività per il mercato significa che, in questo periodo, non sarà concessa un'autorizzazione ad alcun altro farmaco per il medesimo disturbo. Potrebbero essere inoltre disponibili commissioni ridotte per le domande relative a servizi dell'Agenzia europea dei medicinali (EMA).