

Farmaco orfano

Un farmaco orfano è un farmaco che è stato sviluppato specificamente per trattare una condizione rara (una "malattia orfana"). I farmaci orfani generalmente seguono lo stesso percorso di sviluppo normativo come ogni altro farmaco, tuttavia, sono previsti alcuni incentivi per incoraggiare il produttore a investire nel loro sviluppo. 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 incentivi per lo sviluppo di farmaci orfani comprendono una consulenza scientifica specifica e un'esclusività per il mercato di 10 anni. L'esclusività per il mercato significa che, durante 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'EMA.