

Lek sierocy

Lek sierocy to opracowany specjalnie w celu leczenia rzadkiej choroby (choroby sierocej). Leki sieroce ogólnie mają tę samą regulacyjną ścieżkę rozwoju co inne leki, jednakże stosuje się określone zachęty, aby zwiększyć zainteresowanie producenta inwestycjami w ich rozwój. Status leku sierocego jest nadawany przez Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) Europejskiej Agencji Leków i zatwierdzany przez Komisję Europejską przed wydaniem pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Aby otrzymać status leku sierocego, lek musi spełniać szereg kryteriów:

(1) Musi być przeznaczony do leczenia i diagnozowania chorób zagrażających życiu lub przewlekłe osłabiających lub zapobiegania im.

(2) Stan musi dotyczyć nie więcej niż 5 osób na 10 tys. w UE ALBO musi być nieprawdopodobne, że sprzedaż leku będzie wystarczająca do uzasadnienia inwestycji potrzebnej do jego opracowania.

(3) Nie istnieją żadne zadowalające metody diagnostyki danego stanu, jego leczenia czy zapobiegania mu, a jeśli istnieją, przedmiotowy lek musi wykazywać lepsze rezultaty.

Zachętą do opracowania leku sierocego może być właściwe doradztwo naukowe i wyłączność rynkowa na 10 lat. Wyłączność rynkowa oznacza, że w danym okresie żaden inny lek na ten stan chorobowy nie otrzyma pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Dostępne mogą być także mniejsze opłaty za wnioski o usługi EMA.