

Médicament orphelin

Un médicament orphelin est un médicament qui a été développé spécifiquement pour traiter une condition rare (une « maladie orpheline »). Les médicaments orphelins suivent généralement la même évolution réglementaire que tout autre médicament, néanmoins certaines mesures incitatives sont fournies afin d'encourager un fabricant à investir dans leur développement. 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 mesures incitatives pour le développement de médicaments orphelins incluent un conseil scientifique spécifique, et une exclusivité commerciale de 10 ans. L'exclusivité commerciale signifie qu'aucun autre médicament pour la même condition ne se verra accorder une autorisation de commercialisation pendant cette période. Une réduction des frais pour des applications des services accordée par l'EMA peut également

être disponible.