Medicamento huérfano

Un medicamento huérfano es un medicamento desarrollado específicamente para el tratamiento de una enfermedad rara («enfermedad huérfana»). Generalmente, los medicamentos huérfanos siguen la misma ruta reguladora para su desarrollo que cualquier otro medicamento, si bien reciben ciertos incentivos para animar al fabricante a invertir en su desarrollo. El Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) es el responsable de adoptar la designación del medicamento huérfano, que posteriormente confirma la Comisión Europea (CE) antes de conceder la autorización de comercialización.

Para poder presentar una solicitud de designación de medicamento huérfano, un medicamento debe cumplir los requisitos siguientes:

(1) El uso previsto debe ser el tratamiento, la prevención o el diagnóstico de una enfermedad potencialmente mortal o debilitante de forma crónica.

(2) La enfermedad no debe afectar a más de 5 de cada 10 000 personas en la UE, O debe ser improbable que la venta del medicamento sea suficiente para justificar la inversión necesaria para su desarrollo.

(3) No existe ningún método satisfactorio de diagnóstico, prevención o tratamiento de la enfermedad o, en caso de existir un método, el medicamento en cuestión debe aportar un beneficio considerable para los pacientes afectados.

Entre los incentivos para desarrollar medicamentos húerfanos se pueden citar el asesoramiento científico específico y la exclusividad en el mercado durante 10 años. La exclusividad en el mercado implica que no se concede ninguna autorización de comercialización a otro medicamento para la misma enfermedad durante este periodo de tiempo. También pueden beneficiarse de

tarifas reducidas para servicios de la EMA.