

Επιτροπές του EMA: Επιτροπή για τα ορφανά φάρμακα (COMP)

Εισαγωγή

Η Επιτροπή Ορφανών Φαρμάκων (COMP) του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) εξετάζει τις αιτήσεις που ζητούν τον χαρακτηρισμό «ορφανά φάρμακα» – δηλαδή, το φάρμακο ταξινομείται ως υπό ανάπτυξη για τη διάγνωση, την πρόληψη ή τη θεραπεία σπάνιων ασθενειών. Η ταξινόμηση ενός φαρμάκου ως ορφανό φάρμακο συνεπάγεται συγκεκριμένα πλεονεκτήματα ανάπτυξης. Το ακόλουθο άρθρο περιέχει περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τις σπάνιες ασθένειες και αναλύει τις ρυθμιστικές έννοιες και τη νομοθεσία που διέπουν τις δραστηριότητες της COMP.

Επιτροπή του EMA για τα ορφανά φάρμακα (COMP)

Τα ορφανά φάρμακα είναι φάρμακα για σπάνιες ασθένειες.

Οι σπάνιες ασθένειες ορίζονται ως απειλητικές για τη ζωή ή χρόνιες παθήσεις (μακροχρόνιες παθήσεις που έχουν σημαντικές επιπτώσεις στην καθημερινή ζωή). Δεν προσβάλλουν περισσότερους από 5 στους 10.000 ανθρώπους στην ΕΕ – πράγμα που σημαίνει ότι υπάρχουν περίπου 30 εκατομμύρια άνθρωποι στην ΕΕ που πάσχουν από κάποια σπάνια ασθένεια.

Τα συμπτώματα (σημεία) ορισμένων σπάνιων ασθενειών μπορεί να εμφανιστούν κατά τη γέννηση ή στην παιδική ηλικία (για παράδειγμα, η νωτιαία μυϊκή ατροφία (SMA)), ενώ άλλες μπορεί να εμφανιστούν κατά την ενήλικη ζωή (παραδείγματος χάρη, η οξεία μυελοειδής λευχαιμία (AML)). Το 80% των σπάνιων ασθενειών χαρακτηρίζονται από εκφυλιστικούς (στις περιπτώσεις

όπου η δομή ή η λειτουργία των ιστών υποβαθμίζεται) ή/και πολλαπλασιαστικούς (στις περιπτώσεις όπου η παραγωγή κυττάρων είναι ραγδαία) μηχανισμούς. Η «αιτία» των σπάνιων ασθενειών είναι γενικά γενετική.

Οι ιατρικές και επιστημονικές γνώσεις για τις σπάνιες ασθένειες είναι ακόμη περιορισμένες. Εξακολουθεί να υπάρχει μεγάλος αριθμός σπάνιων ασθενειών που δεν έχουν ακόμη περιγραφεί επαρκώς.

Για την τόνωση της έρευνας και της ανάπτυξης θεραπειών για σπάνιες ασθένειες, θεσπίστηκε νομοθεσία της ΕΕ (ΕΚ 141/2000)¹, η οποία περιλαμβάνει μια σειρά από κίνητρα για τις εταιρείες που επιλέγουν να αναπτύξουν ορφανά φάρμακα.

Αυτή η νέα νομοθεσία είχε επιτυχή αποτελέσματα. Κατά τα πρώτα πέντε έτη εφαρμογής, υποβλήθηκαν 458 αιτήσεις για τον χαρακτηρισμό ορφανό φάρμακο.

Οι κύριοι θεραπευτικοί τομείς με ορφανά φάρμακα ήταν:

- Καρκίνος
- Μεταβολικές διαταραχές (διαταραχές που επηρεάζουν το μεταβολισμό, τις χημικές αντιδράσεις μέσα στο σώμα)
- Ανοσολογία (διαταραχές του ανοσοποιητικού συστήματος)
- Καρδιαγγειακές διαταραχές (διαταραχές της καρδιάς)
- Διαταραχές του αναπνευστικού συστήματος (διαταραχές των πνευμόνων και των σχετικών δομών)

Ρυθμιστικές έννοιες και ισχύουσα νομοθεσία

Από το 2000, οι άδειες κυκλοφορίας για τα ορφανά φάρμακα στην ΕΕ πρέπει να υποβάλλονται μέσω της κεντρικής διαδικασίας (ΚΔ).

Η αίτηση για τον χαρακτηρισμό «ορφανό φάρμακο» (η οποία είναι δωρεάν) μπορεί να υποβληθεί σε οποιοδήποτε στάδιο της ανάπτυξης του φαρμάκου. Ωστόσο, η αίτηση για τον χαρακτηρισμό

ορφανό φάρμακο πρέπει να υποβάλλεται πριν από την υποβολή αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στον EMA.

Για να χαρακτηριστεί ένα φάρμακο ως ορφανό, πρέπει να πληροί ορισμένα κριτήρια:

- Πρέπει να προορίζεται για τη θεραπεία, την πρόληψη ή τη διάγνωση μιας ασθένειας που απειλεί τη ζωή ή είναι χρόνια εξουθενωτική.
- Ο επιπολασμός της πάθησης στην ΕΕ δεν πρέπει να υπερβαίνει τους 5 στους 10.000 ή πρέπει να είναι απίθανο η εμπορία του φαρμάκου να αποφέρει επαρκείς αποδόσεις που να δικαιολογούν την επένδυση που απαιτείται για την ανάπτυξή του.
- Δεν υπάρχει ικανοποιητική μέθοδος διάγνωσης, πρόληψης ή θεραπείας της πάθησης ή, εάν υπάρχει τέτοια μέθοδος, το φάρμακο θα έχει σημαντικό όφελος για όσους πάσχουν από την πάθηση.

Στο πλαίσιο της αίτησης χαρακτηρισμού «ορφανό φάρμακο», απαιτούνται γενικά ορισμένα προκαταρκτικά μη κλινικά ή/και κλινικά δεδομένα (απόδειξη της έννοιας). Αίτηση για τον χαρακτηρισμό «ορφανό φάρμακο» μπορεί να υποβληθεί για ήδη εγκεκριμένο φάρμακο, εάν η αίτηση χαρακτηρισμού αφορά νέα ένδειξη ορφανού φαρμάκου που δεν έχει εγκριθεί επί του παρόντος.

Οι αιτήσεις για τον χαρακτηρισμό «ορφανό φάρμακο» εξετάζονται από τον EMA COMP με τη βοήθεια ενός δικτύου εμπειρογνομόνων της ΕΕ. Η COMP ιδρύθηκε το 2000 και ήταν η πρώτη επιτροπή που συμπεριέλαβε εκπροσώπους των ασθενών ως πλήρη και ισότιμα μέλη της επιτροπής. Οι εκπρόσωποι των ασθενών διορίζονται από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή. Αναλυτικός κατάλογος των μελών της COMP είναι διαθέσιμος στον δικτυακό τόπο του EMA.

Όταν ένα φάρμακο λαμβάνει χαρακτηρισμό «ορφανό φάρμακο», η εταιρεία επωφελείται από μια σειρά κινήτρων, όπως:

- Βοήθεια για το πρωτόκολλο (επιστημονικές συμβουλές που

έχουν σχεδιαστεί ειδικά για τα ορφανά φάρμακα) σε μειωμένη τιμή

- Αποκλειστική διάθεση στην αγορά για 10 έτη από τη στιγμή που το φάρμακο λαμβάνει άδεια κυκλοφορίας – δεν επιτρέπεται σε άλλες εταιρείες να διαθέσουν παρόμοιο φάρμακο στην αγορά για 10 έτη μετά την έγκριση.
- Παρέχεται, επίσης, δυνατότητα καταβολής μειωμένου τέλους για τις αιτήσεις χορήγησης άδειας κυκλοφορίας
- Πιθανή επιλεξιμότητα για επιχορηγήσεις από προγράμματα και πρωτοβουλίες της ΕΕ και των κρατών μελών για έρευνα και ανάπτυξη.

Οι χορηγοί καλούνται να υποβάλλουν στον EMA ετήσια έκθεση στην οποία συνοψίζεται η κατάσταση ανάπτυξης του φαρμάκου.

Εάν το ορφανό φάρμακο είναι μια προηγμένη θεραπεία, πρέπει επίσης να υποβληθεί αίτηση στην Επιτροπή προηγμένων θεραπειών (CAT) για την ταξινόμηση του φαρμάκου ως φάρμακο προηγμένων θεραπειών.

Όταν ολοκληρωθεί η ανάπτυξη ενός φαρμάκου, οι αιτήσεις για άδεια κυκλοφορίας αξιολογούνται από την Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP). Κατά τη στιγμή της θετικής γνώμης της CHMP, εάν το φάρμακο έχει χαρακτηρισμό «ορφανό φάρμακο», ο φάκελος επιστρέφεται στην COMP. Αυτό επιτρέπει στην επιτροπή να προσδιορίσει εάν τα κριτήρια εξακολουθούν να ισχύουν και εάν το προϊόν διατηρεί το καθεστώς του ορφανού φαρμάκου.

Ο πλήρης κατάλογος των ορφανών φαρμάκων που έχουν εγκριθεί από την ΕΕ βρίσκεται στο κοινοτικό μητρώο.²

Ο EMA ενθαρρύνει την παράλληλη υποβολή αιτήσεων για τον χαρακτηρισμό ορφανών φαρμάκων σε ρυθμιστικές αρχές εκτός της ΕΕ και έχει συνάψει ειδικές συμφωνίες με τις ρυθμιστικές αρχές των Ηνωμένων Πολιτειών και της Ιαπωνίας. Για το σκοπό αυτό έχει σχεδιαστεί μια ενιαία εφαρμογή.

Περαιτέρω πόροι

- Ευρωπαϊκή Επιτροπή (2015). *Ορφανά φάρμακα* . Ανακτήθηκε στις 4 Ιουλίου, 2021 από τη διεύθυνση:<https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων (2013). *EMA/272219/2013 Sixth annual report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2012)*. Ανακτήθηκε στις 3 Σεπτεμβρίου, 2015 από τη διεύθυνση:http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf

Παραπομπές :

1. Ευρωπαϊκό Κοινοβούλιο (2000). *Κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 141/2000 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 16ης Δεκεμβρίου 1999, για τα ορφανά φάρμακα*. Ανακτήθηκε στις 3 Σεπτεμβρίου, 2015 από τη διεύθυνση:<http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>
2. Ευρωπαϊκή Επιτροπή (2015). *Μητρώο χαρακτηρισμένων ορφανών φαρμάκων*. Ανακτήθηκε στις 3 Σεπτεμβρίου, 2015 από τη διεύθυνση:<http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>

Συνημμένα