

Комитеты ЕМА: Комитет по орфанным лекарственным препаратам (КОЛП)

Введение

Комитет по орфанным лекарственным препаратам (КОЛП) Европейского агентства по лекарственным средствам (ЕМА) рассматривает заявки на присвоение лекарству статуса орфанного препарата – то есть, лекарственный препарат относят к препаратам, разрабатываемым для диагностики, профилактики или лечения редких болезней. Если лекарственный препарат считается орфанным лекарственным препаратом, это дает ему определенные преимущества во время разработки. В изложенной ниже статье содержится дополнительная информация о редких болезнях и обсуждаются нормативные подходы и законодательство, регулирующее деятельность КОЛП.

Комитет по орфанным лекарственным препаратам (КОЛП) ЕМА

Орфанные лекарственные препараты – это препараты для лечения редких болезней.

Согласно определению к редким болезням относятся угрожающие жизни или хронические заболевания (продолжительные заболевания, существенно влияющие на повседневную жизнь). В ЕС они наблюдаются у не более 5 человек на 10 000 населения – что означает, что в ЕС редкие болезни отмечаются у приблизительно 30 миллионов людей.

Симптомы (признаки) некоторых редких заболеваний могут наблюдаться при рождении или в детстве (например, спинальная

мышечная атрофия (СМА)), тогда как в других случаях они могут возникать у взрослых людей (например, острый миелолейкоз (ОМЛ)). 80 % редких заболеваний характеризуются дегенеративными (когда нарушается структура или функция тканей) и/или пролиферативными (когда быстро образуются клетки) механизмами поражения. «Причина» редких болезней в основном связана с генами.

Пока еще немного известно о редких болезнях с медицинской и научной точки зрения. Сохраняется большое количество редких болезней, которые все еще недостаточно хорошо описаны.

Чтобы поощрить изучение и разработку методов лечения редких болезней, был внесен законопроект ЕС (ЕС 141/2000)¹, предусматривающий ряд льгот для компаний, которые решили разрабатывать орфанные лекарственные препараты.

Этот новый закон привел к положительным результатам. В первые пять лет после его внедрения было подано 458 заявок на присвоение лекарству статуса орфанного препарата.

Основными терапевтическими областями применения орфанных препаратов были:

- Онкология
- Метаболические расстройства (расстройства, влияющие на метаболизм – химические реакции в организме)
- Иммунология (заболевания иммунной системы)
- Сердечно-сосудистые заболевания (болезни сердца)
- Нарушения со стороны дыхательной системы (болезни легких и связанных с ними структур)

Нормативные подходы и применимое законодательство

С 2000 года заявки на получение регистрационного свидетельства для орфанного лекарственного препарата в ЕС необходимо подавать с помощью централизованной процедуры (ЦП).

Заявку на присвоение лекарству статуса орфанного препарата (что не требует оплаты) можно подавать на любом этапе разработки лекарственного препарата. Однако заявку на присвоение лекарству статуса орфанного препарата следует регистрировать перед подачей в ЕМА заявки на получение регистрационного свидетельства для этого препарата.

Для одобрения заявки на присвоение лекарству статуса орфанного препарата лекарственный препарат должен соответствовать целому ряду критериев:

- Он должен предназначаться для лечения, профилактики или диагностики угрожающего жизни заболевания или заболевания с хроническим течением.
- Распространенность этого заболевания в ЕС должна составлять не более 5 человек на 10 000 населения, или должно быть маловероятно, что прибыль от продажи лекарственного препарата существенно покроет расходы, необходимые для его разработки.
- Отсутствие удовлетворительного метода диагностики, профилактики или лечения рассматриваемого заболевания или, если такой метод существует, лекарственный препарат должен иметь существенные преимущества перед ним у пациентов, страдающих этим заболеванием.

В рамках подачи заявки на присвоение лекарству статуса орфанного лекарственного препарата обычно требуются некоторые предварительные данные доклинических и/или клинических исследований (подтверждение концепции). Заявку на присвоение лекарству статуса орфанного лекарственного препарата можно подавать для уже зарегистрированного лекарственного препарата, если такая заявка касается нового орфанного показания, которое в данное время еще не одобрено.

Заявки на присвоение лекарству статуса орфанного препарата изучаются КОЛП ЕМА с участием группы экспертов. КОЛП создан в 2000 г., и это был первый комитет, включающий представителей пациентов в качестве действительных и полноправных членов

комитета. Представителей пациентов выдвигает Европейская комиссия. С подробным списком членов КОЛП можно ознакомиться на веб-сайте ЕМА.

После получения лекарственным препаратом статуса орфанного препарата компания извлекает пользу за счет целого ряда льгот, включая:

- Содействие в составлении протокола (научное консультирование специально для установленных орфанных лекарственных препаратов) по сниженной цене.
- Исклyчительное положение на рынке в течение 10 лет после получения лекарственным препаратом регистрационного свидетельства – другим компаниям не разрешается продавать такой же лекарственный препарат в течение 10 лет после его регистрации.
- Кроме того, снижается оплата за заявку на получение регистрационного свидетельства.
- Потенциальная возможность получения грантов от ЕС и участия в программах и инициативах для изучения и разработки препарата, предлагаемых странами-участницами.

Спонсоры должны подавать в ЕМА ежегодный отчет с кратким обзором статуса разработки лекарственного препарата.

Если орфанный препарат является препаратом передовой терапии, необходимо также подать заявку в Комитет по передовой терапии (КПТ), чтобы данный лекарственный препарат считался препаратом передовой терапии.

После завершения разработки лекарственного препарата Комитет по лекарственным препаратам для медицинского применения (СНМР) оценивает заявки на получения лекарственным препаратом регистрационного свидетельства. Если на момент положительного решения СНМР лекарственный препарат получил статус орфанного препарата, досье возвращается в КОЛП. Это позволяет комитету определить, выполняются ли все еще критерии и сохраняет ли продукт статус орфанного препарата.

С полным списком орфанных лекарственных препаратов, принятым в ЕС, можно ознакомиться в общественном реестре.²

ЕМА рекомендует подавать одновременно заявки на присвоение лекарству статуса орфанного препарата в регуляторные органы за пределами ЕС и имеет специальные соглашения с Соединенными Штатами Америки и Японией. С этой целью была предусмотрена однократная подача заявки.

Дополнительные источники

- Европейская комиссия (2015). *Орфанные лекарственные препараты*. Источник по состоянию на 3 сентября 2015 г.: <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- Европейское агентство по лекарственным средствам (2013). *ЕМА/272219/2013 Шестой ежегодный отчет по взаимодействию между ассоциациями пациентов и потребителей (2012)*. Источник по состоянию на 3 сентября 2015 г.: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf

Справочная литература

1. European Parliament (2000). *Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products*. Retrieved 3 September, 2015 from <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>
2. European Commission (2015). *Register of designated Orphan Medicinal Products*. Retrieved 3 September, 2015 from <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>

Приложения

- Информационный бюллетень: Краткий обзор нормативных подходов и законодательства и роль ассоциаций пациентов

Size: 100,130 bytes, Format: .docx

В данном информационном бюллетене содержится обзор разных нормативных подходов и законодательства, связанного с особыми группами лекарственных препаратов, и информация о роли ассоциаций пациентов в таких правовых процессах.

A2-5.08.2-v1.1