

# **Comitati dell'EMA: Comitato per i prodotti medicinali orfani (COMP)**

## **Introduzione**

Il Comitato per i prodotti medicinali orfani (COMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (European Medicines Agency, EMA) esamina le richieste di designazione di prodotto medicinale orfano, ciò significa che il farmaco viene classificato come sviluppato per la diagnosi, la prevenzione o il trattamento delle malattie rare. La classificazione di un prodotto medicinale come prodotto medicinale orfano comporta alcuni specifici vantaggi in termini di sviluppo. Il seguente articolo contiene maggiori informazioni sulle malattie rare ed espone i concetti normativi e la legislazione che disciplinano le attività del COMP.

## **Comitato per i prodotti medicinali orfani (COMP) dell'EMA**

I prodotti medicinali orfani sono prodotti medicinali per le malattie rare.

Le malattie rare sono definite come patologie potenzialmente letali o croniche (patologie a lungo termine che producono un impatto significativo sulla vita quotidiana). Esse colpiscono non più di 5 individui su 10.000 nell'UE, il che significa che vi sono circa 30 milioni di persone affette da una malattia rara nell'UE.

I sintomi (segni) di una malattia rara possono comparire alla nascita o durante l'infanzia, come ad esempio quelli

dell'atrofia muscolare spinale (spinal muscular atrophy, SMA), mentre altri possono manifestarsi in età adulta, come ad esempio quelli della leucemia mieloide acuta (acute myeloid leukaemia, AML). L'80% delle malattie rare è caratterizzato da meccanismi degenerativi (in cui la struttura o la funzione dei tessuti si deteriorano) e/o proliferativi (in cui la produzione cellulare è rapida). La "causa" delle malattie rare generalmente è genetica.

La conoscenza medica e scientifica delle malattie rare è ancora limitata. Ci sono molte malattie rare che ancora non sono state sufficientemente descritte.

Per stimolare la ricerca e lo sviluppo di cure per le malattie rare, è stato introdotto un Regolamento dell'UE (CE 141/2000)<sup>1</sup>, che comprende diversi incentivi per quelle aziende che decidono di procedere allo sviluppo di prodotti medicinali orfani.

Questo nuovo regolamento ha dato risultati positivi. Nei primi cinque anni di attuazione, sono state presentate 458 richieste di designazione di prodotto medicinale orfano.

Le principali aree terapeutiche per le quali si sviluppano prodotti medicinali orfani sono le seguenti:

- L'oncologia
- I disturbi metabolici (disturbi che interessano il metabolismo, le reazioni chimiche all'interno dell'organismo)
- L'immunologia (disturbi del sistema immunitario)
- Le patologie cardiovascolari (disturbi al cuore)
- Le patologie respiratorie (disturbi ai polmoni e alle strutture correlate)

## **Concetti normativi e legislazione**

# applicabile

Dal 2000, nell'UE i prodotti medicinali orfani sono obbligatoriamente soggetti alla procedura centralizzata (Centralised Procedure, CP) di autorizzazione all'immissione in commercio.

La richiesta di designazione di prodotto medicinale orfano (che è gratuita) può essere effettuata in qualsiasi momento durante il periodo di sviluppo del prodotto medicinale stesso. Tuttavia, la richiesta di designazione di prodotto medicinale orfano deve essere effettuata prima di presentare all'EMA la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.

Per qualificarsi alla designazione di prodotto medicinale orfano, un prodotto medicinale deve soddisfare determinati criteri:

- deve essere destinato al trattamento, alla prevenzione o alla diagnosi di una patologia che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica
- L'incidenza di tale patologia nell'UE non deve superare i 5 individui su 10.000, oppure deve risultare improbabile che la commercializzazione di tale farmaco sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario per il relativo sviluppo
- Non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, prevenzione o trattamento della patologia in questione oppure, se tali metodi esistono, il farmaco avrà effetti benefici significativi per i soggetti colpiti da tale patologia.

A complemento della richiesta di designazione di prodotto medicinale orfano, sono necessari alcuni dati clinici e/o non clinici preliminari (studio di fattibilità). Nel caso di un farmaco già autorizzato, è possibile effettuare una richiesta di designazione di prodotto medicinale orfano per una nuova indicazione orfana non ancora autorizzata.

Le richieste di designazione di prodotto medicinale orfano vengono esaminate dal COMP dell'EMA che si avvale di una rete di esperti dell'UE. Il COMP, fondato nel 2000, è stato il primo comitato ad accogliere i rappresentanti dei pazienti quali membri a pieno titolo e con parità di diritti. I rappresentanti dei pazienti vengono nominati dalla Commissione europea. Un elenco dettagliato dei membri del COMP è disponibile sul sito Web dell'EMA.

Quando un farmaco ottiene la designazione di prodotto medicinale orfano, l'azienda beneficia di vari incentivi, tra cui:

- L'assistenza al protocollo (consulenza scientifica specifica per i farmaci designati orfani) a costo ridotto
- 10 anni di esclusiva di mercato una volta che il farmaco ha ottenuto un'autorizzazione all'immissione in commercio: le altre aziende non sono autorizzate a commercializzare un prodotto medicinale simile per i 10 anni successivi alla data dell'approvazione
- Esiste inoltre la possibilità di ottenere una riduzione dell'importo delle tasse per la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio
- La potenziale idoneità per l'accesso ai finanziamenti dell'UE, nonché ai programmi e alle iniziative degli Stati Membri per la ricerca e lo sviluppo.

Agli sponsor viene richiesto di presentare una relazione annuale all'EMA sintetizzando lo stato di avanzamento dello sviluppo del farmaco.

Se il prodotto medicinale orfano costituisce una terapia avanzata, è inoltre necessario procedere alla presentazione di una domanda al Comitato per le terapie avanzate (Committee for Advanced Therapies, CAT) affinché lo stesso sia classificato come terapia avanzata.

Una volta completato lo sviluppo di un farmaco, il Comitato per i farmaci per uso umano (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) valuta le domande di autorizzazione all'immissione in commercio. Una volta ottenuto il parere positivo del CHMP, se il prodotto medicinale ha la designazione di prodotto medicinale orfano, il fascicolo viene restituito al COMP. In questo modo si consente al comitato di determinare se i criteri sono ancora validi e se il prodotto mantiene il proprio stato di orfano.

L'elenco completo dei prodotti medicinali orfani adottati nell'UE è contenuto nel Registro Comunitario.<sup>2</sup>

L'EMA incoraggia le richieste parallele di designazione di prodotto medicinale orfano presso le autorità normative esterne all'UE e conta su accordi particolari con le autorità di regolamentazione degli Stati Uniti e del Giappone. A tale scopo, è stata messa a punto una richiesta unica.

## Ulteriori risorse

- Commissione europea (2015). *Prodotti medicinali orfani*. Scaricato il 3 settembre 2015 da <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- Agenzia europea per i medicinali (2013). *EMA/272219/2013 Sesto rapporto annuale sull'interazione con le organizzazioni di pazienti e consumatori (2012)*. Scaricato il 3 settembre 2015 da [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf)

## Riferimenti bibliografici

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>

## Allegati

- Scheda informativa: Sintesi dei concetti normativi e della legislazione, nonché ruolo delle organizzazioni di pazienti

Size: 99,441 bytes, Format: .docx

Questa scheda informativa fornisce una panoramica sui diversi concetti normativi e sulla legislazione relativi ai prodotti medicinali, nonché sul ruolo delle organizzazioni di pazienti in tali processi normativi.

A2-5.08.2-v1.1