

Comités da EMA: Committee for Orphan Medicinal Products (Comité dos Medicamentos Órfãos (COMP))

Introdução

O Comité dos Medicamentos Órfãos da EMA (COMP) analisa os pedidos para “designação de medicamento órfão”, ou seja, o medicamento é classificado como sendo desenvolvido para o diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras. A classificação de um medicamento como medicamento órfão aporta vantagens de desenvolvimento específicas. O artigo seguinte contém mais informações sobre doenças raras e discute os conceitos regulamentares e a legislação que orienta as atividades do COMP.

Comité dos Medicamentos Órfãos (Committee for Orphan Medicinal Products (COMP)) da EMA

Os medicamentos órfãos são medicamentos para as doenças raras.

As doenças raras são definidas como condições crónicas ou potencialmente fatais (condições a longo prazo que têm um impacto significativo na vida diária). Afectam não mais do que 5 em 10.000 pessoas na UE, o que significa que existem cerca de 30 milhões de pessoas na União Europeia que sofrem de uma doença rara.

Os sintomas (sinais) de algumas das doenças raras podem aparecer à nascença ou na infância (por exemplo, a atrofia

espinal muscular (AEM)), enquanto que outras podem aparecer durante a vida adulta (por exemplo, a leucemia mielóide aguda (LMA)). 80% das doenças raras são caracterizadas por mecanismos degenerativos (onde a estrutura ou a função dos tecidos se deteriora) e/ou proliferativos (onde a produção de células é rápida). A “causa” das doenças raras é normalmente genética.

O conhecimento médico e científico das doenças raras é ainda limitado. Continua a existir um grande número de doenças raras que ainda não foram suficientemente descritas.

Para estimular a investigação e o desenvolvimento de tratamentos para as doenças raras, foi introduzida Legislação na UE (CE 141/2000)¹, incluindo uma série de incentivos para as empresas que optarem por desenvolver medicamentos órfãos.

Esta nova legislação tem sido bem sucedida. Nos primeiros cinco anos após a sua implementação, foram submetidos 458 pedidos para designação de medicamento órfão.

As principais áreas terapêuticas com medicamentos órfãos foram:

- Cancro
- Distúrbios metabólicos (distúrbios que afetam o metabolismo, as reações químicas no interior do organismo)
- Imunologia (doenças do sistema imunitário)
- Doenças cardiovasculares (doenças do coração)
- Doenças respiratórias (doenças dos pulmões e das estruturas relacionadas)

Conceitos regulamentares e legislação aplicável

Desde 2000, na UE, os pedidos de autorização de introdução no mercado de medicamentos órfãos são obrigatoriamente submetidos através do Procedimento Centralizado (PC).

Um pedido de designação de medicamento órfão (que é gratuito) pode ser efetuado em qualquer fase do desenvolvimento do medicamento. No entanto, o pedido de designação de medicamento órfão deve ser efetuado antes de se submeter um pedido de autorização de introdução no mercado à EMA.

Para se qualificar para designação de medicamento órfão, um medicamento deve cumprir uma série de critérios:

- Deve destinar-se ao tratamento, prevenção ou diagnóstico de uma doença potencialmente fatal ou que cause debilidade crónica.
- A prevalência da condição na UE não deverá ser superior a 5 em cada 10.000 pessoas ou deverá ser pouco provável que a comercialização do medicamento gere retorno suficiente para justificar o investimento necessário ao seu desenvolvimento.
- Não existe nenhum método satisfatório de diagnóstico, prevenção ou tratamento da condição em questão ou, se tal método existir, o medicamento será de grande benefício para os doentes afetados pela condição.

Como parte do pedido de designação de medicamento órfão, alguns dados não clínicos e/ou clínicos preliminares (prova de conceito) são geralmente necessários. Um pedido de designação de medicamento órfão pode ser efetuado para um medicamento já autorizado, caso o pedido de designação diga respeito a uma nova indicação órfã que atualmente não se encontra autorizada.

Os pedidos para designação de medicamento órfão são analisados pelo COMP da EMA utilizando uma rede de peritos da UE. O COMP foi criado em 2000 e foi o primeiro comité a incluir representantes de doentes como membros iguais e plenos do comité. Os representantes dos doentes são nomeados pela Comissão Europeia. Uma lista detalhada dos membros da COMP está disponível no site da EMA.

Quando a designação de medicamento órfão é obtida para um

medicamento, a empresa em causa beneficia de vários incentivos, incluindo:

- Assistência no protocolo (aconselhamento científico específico para medicamentos órfãos designados) a um preço reduzido
- Exclusividade de mercado durante 10 anos. Assim que o medicamento receber a autorização de introdução no mercado, as outras empresas não estão autorizadas a comercializar um medicamento similar durante 10 anos após a aprovação.
- Uma taxa reduzida para os pedidos de autorização de introdução no mercado também está disponível
- Potencial elegibilidade para programas de bolsas de iniciativas de investigação e desenvolvimento da UE e dos Estados-membros.

Os promotores têm que submeter um relatório anual à EMA, a resumir o estado de desenvolvimento do medicamento.

Se o medicamento órfão for uma terapia avançada, também deve ser efetuado um pedido ao Comité para as Terapias Avançadas (Committee for Advanced Therapies (CAT)) para que o medicamento seja classificado como um medicamento de terapia avançada.

Quando o desenvolvimento de um medicamento estiver concluído, os pedidos de autorização de introdução no mercado são avaliados pelo Comité dos Medicamentos para Uso Humano (Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)). Se quando o CHMP emitir um parecer positivo, o medicamento tiver uma designação de medicamento órfão, o dossiê é enviado para o COMP. Isto permite que o comité determine se os critérios ainda são válidos e se o produto mantém o seu estatuto de órfão.

A lista completa dos medicamentos órfãos adotados na União Europeia pode ser encontrada no Registo Comunitário.²

A EMA incentiva os pedidos paralelos para designação de medicamento órfão às autoridades regulamentares fora da UE e tem acordos especiais com as autoridades regulamentares dos Estados Unidos e do Japão. Um único aplicativo foi concebido para esse fim.

Outros recursos

- European Commission (2015). *Orphan medicinal products*. Retrieved 3 September, 2015 from <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- European Medicines Agency (2013). *EMA/272219/2013 Sixth annual report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2012)*. Retrieved 3 September, 2015 from http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf

Referências

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>

Anexos