

# Comités de la EMA: Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP)

## Introducción

El Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisa las solicitudes de «designación de medicamentos huérfanos» (es decir, los medicamentos se clasifican como desarrollados para el diagnóstico, la prevención o el tratamiento de enfermedades raras). La clasificación de un medicamento como huérfano ofrece una serie de ventajas específicas para su desarrollo. En el siguiente artículo se incluye más información sobre las enfermedades raras y se analizan los conceptos reglamentarios y la legislación de las actividades del COMP.

## Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP) de la EMA

Los medicamentos huérfanos son medicamentos para las enfermedades raras.

Las enfermedades raras se definen como enfermedades potencialmente mortales o crónicas (enfermedades de larga duración que tienen una repercusión considerable en la vida diaria). Afectan a no más de 5 de cada 10 000 personas en la UE, lo que significa que hay aproximadamente 30 millones de personas en la UE que padecen una enfermedad rara.

Los síntomas (signos) de algunas enfermedades raras pueden aparecer al nacer o durante la infancia (por ejemplo, atrofia muscular espinal [AME]), mientras que otros pueden aparecer durante la edad adulta (por ejemplo, leucemia mieloide aguda [LMA]). El 80% de las enfermedades raras se caracterizan por

mecanismos degenerativos (deterioro de la estructura o la función de los tejidos) o proliferativos (producción rápida de células). La «causa» de las enfermedades raras suele ser genética.

Los conocimientos médicos y científicos de las enfermedades raras siguen siendo limitados. Sigue habiendo un gran número de enfermedades raras que aún no se han descrito de forma exhaustiva.

Para fomentar la investigación y el desarrollo de tratamientos para las enfermedades raras, se presentó el Reglamento (CE) n.º 141/2000<sup>1</sup>, en el cual se incluye una serie de incentivos para las compañías que optan por el desarrollo de medicamentos huérfanos.

Este reglamento ha tenido éxito. Durante los primeros cinco años tras la implementación, se presentaron 458 solicitudes de designación de medicamentos huérfanos.

Las principales áreas terapéuticas de los medicamentos huérfanos son las siguientes:

- Cáncer
- Alteraciones metabólicas (alteraciones que afectan al metabolismo [reacciones químicas del organismo])
- Inmunología (trastornos del sistema inmunitario)
- Trastornos cardiovasculares (trastornos del corazón)
- Trastornos respiratorios (trastornos de los pulmones y las estructuras relacionadas)

## **Conceptos reglamentarios y legislación aplicable**

Desde el año 2000, las autorizaciones de comercialización de los medicamentos huérfanos en la UE se deben presentar mediante el procedimiento centralizado (PC).

Una solicitud de designación de medicamento huérfano (que es gratuita) se puede presentar en cualquier fase del desarrollo del medicamento. No obstante, la solicitud de designación de medicamento huérfano se debe realizar antes de presentar una solicitud de autorización de comercialización a la EMA.

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

- El uso previsto debe ser el tratamiento, la prevención o el diagnóstico de una enfermedad potencialmente mortal o debilitante de forma crónica.
- La prevalencia de la enfermedad en la UE no debe ser superior a 5 de cada 10.000 personas o debe ser improbable que la comercialización del medicamento genere suficientes ingresos para justificar la inversión necesaria para el desarrollo.
- No existe ningún método satisfactorio de diagnóstico, prevención o tratamiento de la enfermedad o, en caso de existir un método, el medicamento supondrá un beneficio considerable para los pacientes afectados.

Como parte de la solicitud de designación de medicamento huérfano, se suelen requerir determinados datos preclínicos o clínicos (prueba de concepto). La solicitud de designación de medicamento huérfano se puede presentar para un medicamento ya autorizado si dicha solicitud de designación es para una nueva indicación no autorizada.

Las solicitudes de designación de medicamento huérfano son revisadas por el COMP (EMA) mediante una red de expertos de la UE. El COMP se estableció en el año 2000 y fue el primer comité en el que participaron representantes de pacientes como miembros de pleno derecho. Los representantes de pacientes son designados por la Comisión Europea. En el sitio web de la EMA se incluye una lista detallada de los miembros del COMP.

Cuando se obtiene una designación de medicamento huérfano, la compañía puede disfrutar de una serie de incentivos, como los siguientes:

- Asistencia con el protocolo (asesoramiento científico para los medicamentos huérfanos designados) a un precio reducido.
- Exclusividad comercial durante 10 años una vez que se concede la autorización de comercialización del medicamento (otras compañías no pueden comercializar un medicamento similar durante un periodo de 10 años tras la autorización).
- Se aplica además una tarifa reducida para las solicitudes de autorización de comercialización.
- Posibilidad de acceder a ayudas de programas e iniciativas de la UE y los Estados miembros para la investigación y el desarrollo.

Los fabricantes del medicamento deben presentar un informe anual a la EMA en el que se resuma el estado de desarrollo del medicamento.

Si el medicamento huérfano es un tratamiento avanzado, se debe presentar además una solicitud al Comité de Terapias Avanzadas (CAT por sus siglas en inglés) para que el medicamento se clasifique como un tratamiento avanzado.

Una vez finalizado el desarrollo de un medicamento, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP por sus siglas en inglés) evalúa las solicitudes de autorización de comercialización. En el momento en el que el CHMP emite un dictamen favorable, en caso de designación de medicamento huérfano, la documentación se vuelve a enviar al COMP. Esto permite al comité determinar si los requisitos se siguen cumpliendo y si el producto mantiene su condición de huérfano.

La lista completa de medicamentos huérfanos de la UE se puede consultar en el registro de la UE<sup>2</sup>.

La EMA recomienda presentar solicitudes de medicamento huérfano paralelas a las autoridades de registro sanitario de fuera de la UE y mantiene acuerdos especiales con las autoridades de registro sanitario de Estados Unidos y Japón. Con este fin, se ha diseñado una solicitud individual.

## Otros recursos

- European Commission (2015). *Orphan medicinal products*. Recopilado el 3 de septiembre de 2015 de <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)*. Recopilado el 3 de septiembre de 2015 de [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).

## Referencias

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