

# **Comitetele EMA: Comitetul pentru Medicamente Orfane (CMO)**

## **Introducere**

Comitetul pentru Medicamente Orfane (CMO) din cadrul Agenției Europene a Medicamentului (EMA) evaluează cererile de acordare a „statutului de medicament orfan”, mai exact de clasificare a unui medicament ca fiind dezvoltat pentru diagnosticarea, prevenirea sau tratamentul bolilor rare. Clasificarea unui medicament drept orfan conferă anumite avantaje legate de dezvoltarea acestuia. Acest articol conține o serie de informații privind bolile rare și discută despre conceptele de reglementare și legislația care guvernează activitatea CMO.

## **Comitetul EMA pentru Medicamente Orfane (CMO)**

Medicamentele orfane sunt medicamentele destinate bolilor rare.

Bolile rare sunt definite ca boli mortale sau cronice (boli pe termen lung care afectează semnificativ viața cotidiană). Acestea afectează nu mai mult de 5 persoane din 10.000 în U.E. – ceea ce înseamnă că aproximativ 30 de milioane de persoane din U.E. suferă de boli rare.

Simptomele (semnele) unora dintre bolile rare pot apărea la naștere sau în copilărie (de exemplu, în cazul atrofiei musculare spinale (AMS)), în timp ce, în cazul altor boli, acestea pot apărea la vârsta adultă (de exemplu, în cazul leucemiei mieloide acute (LMA)). 80% dintre bolile rare sunt

caracterizate de mecanisme degenerative (în care structura sau funcția țesuturilor se deteriorează) și/sau proliferative (în care are loc producerea rapidă a celulelor). În general, cauzele bolilor rare sunt genetice.

Cunoștințele medicale și științifice privind bolile rare sunt încă limitate. Continuă să existe un număr mare de boli rare care nu au fost descrise într-o manieră satisfăcătoare.

Pentru a stimula cercetarea și dezvoltarea tratamentelor pentru boli rare, U.E. a adoptat un act legislativ (CE 141/2000)<sup>1</sup> care prevede o serie de stimulente pentru companiile care decid să dezvolte medicamente orfane.

Acest nou act legislativ a avut succes. În primii cinci ani de la implementare, au fost depuse 458 de cereri de acordare a statutului de medicament orfan.

Principalele domenii terapeutice ale medicamentelor orfane au fost următoarele:

- Cancerul
- Tulburările de metabolism (tulburări care afectează metabolismul – reacțiile chimice din interiorul corpului)
- Imunologia (tulburările sistemului imunitar)
- Tulburările cardiovasculare (tulburările inimii)
- Tulburările respiratorii (tulburări ale plămânilor și structurilor asociate)

## **Concepte de reglementare și legislația aplicabilă**

Începând cu anul 2000, autorizațiile de punere pe piață a medicamentelor orfane din U.E. trebuie depuse prin procedura centralizată (PC).

0 cerere de acordare a statutului de medicament orfan (care

este gratuit) poate fi depusă în orice etapă a dezvoltării medicamentului. Cererea de acordare a statutului de medicament orfan trebuie, însă, depusă înainte de depunerea cererii de eliberare a autorizației de punere pe piață de către EMA.

Un medicament eligibil pentru statutul de medicament orfan trebuie să îndeplinească o serie de criterii:

- Acesta trebuie conceput pentru tratarea, prevenția sau diagnosticarea unei boli cronice invalidante sau potențial mortale.
- Prevalența bolii respective în U.E. trebuie să fie nu mai mare de 5 la 10.000 sau trebuie să fie improbabil ca punerea pe piață a medicamentului să genereze câștiguri suficiente pentru a justifica investițiile necesare pentru dezvoltare.
- Nu trebuie să existe metode satisfăcătoare de diagnosticare, prevenție sau tratament al bolii sau, dacă există astfel de metode, medicamentul trebuie să ofere beneficii semnificative persoanelor afectate de boala respectivă.

Ca parte a cererii de acordare a statutului de medicament orfan, sunt necesare, în general, date preliminare, non-clinice și clinice (de validare a conceptului). O cerere de acordare a statutului de medicament orfan poate fi depusă pentru un medicament deja autorizat dacă cererea de acordare a statutului de medicament orfan privește o altă indicație orfană, căreia nu i se aplică autorizația existentă.

Cererile de acordare a statutului de medicament orfan sunt examinate de către CMO din cadrul EMA cu ajutorul unei rețele de experți din U.E. CMO a fost înființat în anul 2000 și a fost primul comitet care a inclus reprezentanți ai pacienților ca membri cu drepturi depline. Reprezentanții pacienților sunt desemnați de către Comisia Europeană. Lista completă a membrilor CMO este disponibilă pe site-ul web EMA.

Atunci când statutul de medicament orfan este obținut pentru un medicament, compania producătoare beneficiază de o serie de stimulente precum:

- asistență pentru realizarea protocolului (consultanță științifică specializată în domeniul medicamentelor orfane) la un preț redus;
- exclusivitate de piață timp de 10 ani după emiterea autorizației de punere pe piață a medicamentului; cu alte cuvinte, alte companii nu vor putea pune pe piață un medicament similar timp de 10 ani după aprobare;
- există posibilitatea aplicării unui tarif redus pentru cererea autorizației de punere pe piață;
- este posibilă eligibilitatea pentru granturi din partea programelor și inițiativelor de cercetare și dezvoltare ale U.E. și statelor membre.

Sponsorii au obligația de a furniza EMA un raport anual care să rezume stadiul curent de dezvoltare a medicamentului.

Dacă un medicament orfan este o terapie avansată, trebuie depusă, de asemenea, o cerere de clasificare a medicamentului ca terapie avansată de către Comitetul pentru Terapii Avansate (CTA).

La încheierea dezvoltării medicamentului, cererile de autorizare a punerii pe piață sunt evaluate de către Comitetul pentru Medicamente de Uz Uman (Committee for Medicinal Products for Human Use – CHMP)). În condițiile unei opinii pozitive a CHMP, dacă medicamentul este clasificat ca orfan, dosarul revine la CMO. Acest lucru permite comitetului să determine dacă criteriile sunt în continuare îndeplinite și dacă produsul își menține statutul de medicament orfan.

Lista completă a medicamentelor orfane aprobate în U.E. poate fi găsită în Registrul comunitar.<sup>2</sup>

EMA încurajează depunerea de cereri paralele pentru acordarea

statutului de medicament orfan la autorități din afara U.E. și are acorduri speciale cu autoritățile de reglementare din Statele Unite ale Americii și Japonia. În acest scop, a fost stabilit un format unic al cererilor.

## Resurse suplimentare

- 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](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf)

## Referințe

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>

## Atașamente

A2-5.08.2-v1.1