

Commissies van het EMA: Comité voor weesgeneesmiddelen (COMP)

Inleiding

Het Comité voor weesgeneesmiddelen (COMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) beoordeelt aanvragen voor 'aanwijzing als weesgeneesmiddel' – dat wil zeggen dat het geneesmiddel wordt ingedeeld als zijnde ontwikkeld voor de diagnose, preventie of behandeling van zeldzame ziekten. De indeling van een geneesmiddel als weesgeneesmiddel brengt specifieke ontwikkelingsvoordelen met zich mee. Het volgende artikel bevat meer informatie over zeldzame ziekten en bespreekt de regelgevende concepten en wetgeving die leidend zijn voor de activiteiten van het COMP.

Comité voor weesgeneesmiddelen (COMP) van het EMA

Weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor zeldzame ziekten.

Zeldzame ziekten worden gedefinieerd als levensbedreigende of chronische aandoeningen (langdurige aandoeningen die een aanzienlijke impact op het dagelijks leven hebben). Ze treffen niet meer dan 5 op de 10.000 mensen in de EU – wat betekent dat ongeveer 30 miljoen mensen in de EU lijden aan een zeldzame ziekte.

De symptomen (tekenen) van sommige zeldzame ziekten worden zichtbaar bij de geboorte of in de kinderjaren (bijvoorbeeld spinale musculaire atrofie (SMA)), terwijl andere verschijnen tijdens de volwassenheid (bijvoorbeeld acute myeloïde leukemie

(AML)). Tachtig procent van de zeldzame ziekten wordt gekenmerkt door mechanismen waarbij de structuur of functie van weefsel verslechtert (degeneratie) en/of waarbij de cellen woekeren of snel groeien. De 'oorzaak' van zeldzame ziekten is meestal genetisch.

De medische en wetenschappelijke kennis rond zeldzame ziekten is nog altijd beperkt. Er zijn nog steeds veel zeldzame ziekten die nog niet in voldoende mate zijn beschreven.

Om onderzoek en ontwikkeling voor behandelingen van zeldzame ziekten te stimuleren, is EU-wetgeving (EG 141/2000)¹ geïntroduceerd, waaronder een aantal stimuleringsmaatregelen voor bedrijven die ervoor kiezen weesgeneesmiddelen te ontwikkelen.

Deze nieuwe wetgeving is succesvol geweest. In de eerste vijf jaar na implementatie, werden 458 aanvragen voor aanwijzing als weesgeneesmiddel ingediend.

De belangrijkste therapeutische gebieden met weesgeneesmiddelen waren:

- Kanker
- Stofwisselingsziekten (ziekten die invloed hebben op het metabolisme, chemische reacties in ons lichaam)
- Immunologie (aandoeningen van het immuunsysteem)
- Hart- en vaatziekten (aandoeningen van het hart)
- Ademhalingsstoornissen (aandoeningen van de longen en verwante structuren)

Regulatoire concepten en toepasselijke wetgeving

Sinds 2000 moeten aanvragen voor handelsvergunningen voor weesgeneesmiddelen in de EU verplicht worden ingediend via de gecentraliseerde procedure.

Een aanvraag voor een aanwijzing als weesgeneesmiddel (watgratis is) kan in elk stadium van de ontwikkeling van het geneesmiddel worden gedaan. De aanvraag voor aanwijzing als weesgeneesmiddel moet echter worden gedaan voordat een aanvraag voor een handelsvergunning bij het EMA wordt ingediend.

Om voor aanwijzing als weesgeneesmiddel in aanmerking te komen moet een geneesmiddel aan een aantal criteria voldoen:

- Het moet bedoeld zijn voor de behandeling, preventie of diagnose van een ziekte die levensbedreigend of chronisch invaliderend is.
- De prevalentie van de ziekte in de EU mag niet meer dan 5 op de 10.000 zijn of het moet onwaarschijnlijk zijn dat het in de handel brengen van het geneesmiddel zo veel winst genereert dat het de benodigde investering voor de ontwikkeling ervan rechtvaardigt.
- Er is geen bevredigende methode voor de diagnose, preventie of behandeling van de betrokken aandoening, of, indien een dergelijke methode wel bestaat, degenen die aan deze aandoening lijden zullen aanzienlijk baat hebben bij het geneesmiddel.

Als onderdeel van de aanvraag voor aanwijzing als weesgeneesmiddel zijn meestal enkele voorlopige niet-klinische en/of klinische gegevens ('proof of concept') vereist. Een verzoek tot aanwijzing als weesgeneesmiddel kan voor een reeds toegelaten geneesmiddel worden gedaan, als het aanwijzingsverzoek een nieuwe weesindicatie betreft die op dat moment nog niet is toegelaten.

Aanvragen voor aanwijzing als weesgeneesmiddel worden door het COMP van het EMA onderzocht met behulp van een netwerk van deskundigen in de EU. Het COMP werd in 2000 opgericht en was het eerste comité dat vertegenwoordigers van patiënten als volledige en gelijkwaardige comitéleden opnam. De vertegenwoordigers van patiënten worden benoemd door de

Europese Commissie. Er is een gedetailleerde lijst met de COMP-leden beschikbaar op de EMA-website.

Wanneer een aanwijzing als weesgeneesmiddel is verkregen voor een geneesmiddel, profiteert het bedrijf van een aantal stimuleringsmaatregelen, zoals:

- Technische bijstand (wetenschappelijk advies specifiek voor aangewezen weesgeneesmiddelen) tegen een gereduceerde prijs
- Marktexclusiviteit gedurende 10 jaar als het geneesmiddel eenmaal een handelsvergunning heeft gekregen – het is andere bedrijven niet toegestaan om een vergelijkbaar geneesmiddel in de handel te brengen gedurende 10 jaar na goedkeuring
- Er is ook een gereduceerd tarief voor aanvragen voor handelsvergunningen beschikbaar
- Een bedrijf kan in aanmerking komen voor subsidies in het kader van programma's van de EU of de lidstaten voor onderzoek en ontwikkeling.

Sponsors worden verzocht een jaarlijks rapport in te dienen bij het EMA met daarin een overzicht van de ontwikkelingsstatus van het geneesmiddel.

Als het weesgeneesmiddel een geavanceerde therapie is, moet er ook een aanvraag worden ingediend bij het Comité voor geavanceerde therapieën (CAT) voor indeling van het geneesmiddel als een geneesmiddel voor geavanceerde therapie.

Als de ontwikkeling van het geneesmiddel is voltooid, worden de aanvragen voor een handelsvergunning beoordeeld door het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP). Als het CHMP een positief advies uitbrengt, en als het geneesmiddel een aanwijzing als weesgeneesmiddel heeft, wordt het dossier teruggestuurd naar het COMP. Dit stelt het comité in staat om vast te stellen of de criteria nog van toepassing zijn en of het product zijn status als weesgeneesmiddel

behoudt.

Een volledige lijst met weesgeneesmiddelen die in de EU zijn aangenomen, is te vinden het Community Register.²

Het EMA moedigt gelijktijdige aanvragen voor aanwijzing als weesgeneesmiddel bij toezichthoudende autoriteiten buiten de EU aan, en heeft speciale regelingen met toezichthouders in de Verenigde Staten en Japan. Voor dit doel is één enkele aanvraag ontworpen.

Overige informatiebronnen

- Europese Commissie (2015). *Weesgeneesmiddelen*. Geraadpleegd op 3 september 2015 op <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- Europees Geneesmiddelenbureau (2013). *EMA/272219/2013 Sixth annual report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2012)*. Geraadpleegd op 3 september 2015 op http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf

Referenties

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*. Geraadpleegd op 3 september 2015 op <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>
2. European Commission (2015). *Register of designated Orphan Medicinal Products*. Geraadpleegd op 3 september 2015 op <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>

Bijlagen

- Informatieblad ('factsheet'): Overzicht van regulatoire concepten en wetgeving, en de rol van patiëntenorganisaties

Size: 98,100 bytes, Format: .docx

Dit informatieblad bevat een overzicht van de verschillende regulatoire concepten en wetgeving op het gebied van speciale geneesmiddelen, en informatie over de rol van patiëntenorganisaties in die wettelijke procedures.

- Informatieblad ('factsheet'): Overzicht van regulatoire concepten en wetgeving, en de rol van patiëntenorganisaties

Size: 98,100 bytes, Format: .docx

Dit informatieblad bevat een overzicht van de verschillende regulatoire concepten en wetgeving op het gebied van speciale geneesmiddelen, en informatie over de rol van patiëntenorganisaties in die wettelijke procedures.