

EMA:s kommittéer: kommittén för säräkemedel (COMP)

Inledning

Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA:s) kommitté för säräkemedel (COMP) granskar ansökningar om klassificering som säräkemedel, vilket innebär att läkemedlet utvecklas för diagnos, förebyggande eller behandling av sällsynta sjukdomar. Klassificeringen av ett läkemedel som säräkemedel innebär specifika utvecklingsfördelar. Följande artikel innehåller mer information om sällsynta sjukdomar och beskriver de regulatoriska principer och den lagstiftning som styr COMP:s aktiviteter.

EMA:s kommitté för säräkemedel (COMP)

Säräkemedel är läkemedel för sällsynta sjukdomar.

Sällsynta sjukdomar definieras som livshotande eller kroniska sjukdomar (långvariga sjukdomar som har en betydande inverkan på det dagliga livet). De drabbar högst 5 av 10 000 personer inom EU – vilket innebär att cirka 30 miljoner människor i EU lider av en sällsynt sjukdom.

För vissa sällsynta sjukdomar kan symtomen (tecknen) uppkomma vid födseln eller i barndomen (till exempel spinal muskelatrofi (SMA)) medan de för andra kan uppträda i vuxen ålder (till exempel akut myeloisk leukemi (AML)). 80 procent av de sällsynta sjukdomarna kännetecknas av degenerativa mekanismer (försämring av strukturen eller funktionen hos vävnader) och/eller proliferativa mekanismer (snabb cellproduktion). Orsaken till sällsynta sjukdomar är i

allmänhet genetisk.

Medicinska och vetenskapliga kunskaper om sällsynta sjukdomar är fortfarande begränsade. Det finns alltså ett stort antal sällsynta sjukdomar som inte har beskrivits tillräckligt.

För att stimulera forskning om och utveckling av behandlingar för sällsynta sjukdomar har en EU-författning (EG 141/2000)¹ införts som innehåller ett antal incitament för företag som väljer att utveckla särpräglade läkemedel.

Denna nya författning har varit framgångsrik. Under de första fem åren efter införandet inlämnades 458 ansökningar om klassificering som särpräglade läkemedel.

De huvudsakliga terapeutiska områdena för särpräglade läkemedlen var

- cancer
- metabola sjukdomar (sjukdomar som påverkar metabolismen, kemiska reaktioner i kroppen)
- immunologi (sjukdomar i immunsystemet)
- kardiovaskulära sjukdomar (sjukdomar i hjärtat)
- andningssjukdomar (sjukdomar i lungorna och tillhörande strukturer).

Regulatoriska principer och tillämplig lagstiftning

Sedan år 2000 måste ansökningar om godkännande för försäljning av särpräglade läkemedel i EU lämnas in enligt det centraliserade förfarandet (CP).

En ansökan om klassificering som särpräglade läkemedel (som är kostnadsfri) kan göras i alla stadier av läkemedelsutvecklingen. Ansökan om klassificering som särpräglade läkemedel måste dock göras innan en ansökan om godkännande för försäljning lämnas in till EMA.

För att klassificeras som särpräglade läkemedel måste läkemedlet

uppfylla ett antal kriterier:

- Det måste vara avsett för behandling, förebyggande eller diagnos av en sjukdom som är livshotande eller ger kronisk funktionsnedsättning.
- Prevalensen för sjukdomen i EU får inte överstiga 5 av 10 000 eller det måste vara osannolikt att försäljningen av läkemedlet genererar tillräckligt med intäkter för att motivera den investering som krävs för att utveckla det.
- Det finns ingen tillfredsställande metod för diagnos, förebyggande eller behandling av sjukdomen, eller om en sådan metod finns ska läkemedlet ge betydande nytta för de som drabbats av sjukdomen.

Som en del av ansökan om klassificering som särpräglade läkemedel krävs vanligtvis vissa preliminära icke-kliniska och/eller kliniska data (konceptvalidering). En begäran om klassificering som särpräglade läkemedel kan göras för ett redan godkänt läkemedel, om begäran om klassificering gäller en ny indikation för en sällsynt sjukdom som för tillfället inte är godkänd.

Ansökningar om klassificering som särpräglade läkemedel prövas av EMA:s kommitté för särpräglade läkemedel med hjälp av ett nätverk av EU-experter. Kommittén för särpräglade läkemedel grundades år 2000 och var den första kommittén som betraktade patientrepresentanter som fullvärdiga och likvärdiga medlemmar av kommittén. Patientrepresentanterna utnämns av Europeiska kommissionen. En detaljerad lista över medlemmarna i kommittén för särpräglade läkemedel finns på EMA:s webbplats.

När ett läkemedel klassificeras som särpräglade läkemedel får företaget ta del av ett antal incitament, bland annat följande:

- hjälp med protokoll (vetenskaplig rådgivning som är specifik för klassificerade särpräglade läkemedel) till reducerat pris
- marknadsexklusivitet i tio år när läkemedlet har

beviljats godkännande för försäljning – andra företag får inte sälja ett liknande läkemedel under tio år efter godkännandet

- en sänkt avgift för ansökningar om godkännande för försäljning kan också erhållas
- möjligt berättigande till bidrag inom ramen för program och initiativ för forskning och utveckling inom EU och dess medlemsstater.

Sponsorer måste lämna in en årlig rapport till EMA med en sammanfattning av läkemedlets utvecklingsstatus.

Om sär läkemedlet är en avancerad terapi måste även en ansökan till kommittén för avancerade terapier (CAT) lämnas in för att få läkemedlet klassificerat som ett läkemedel för avancerad terapi.

När utvecklingen av ett läkemedel är slutförd bedöms ansökningar om godkännande för försäljning av kommittén för humanläkemedel (CHMP). När CHMP avger ett positivt yttrande skickas dossiern tillbaka till COMP om läkemedlet har klassificerats som sär läkemedel. Då kan kommittén avgöra om kriterierna fortfarande är uppfyllda och om produkten ska ha kvar sin status som sär läkemedel.

En fullständig lista över sär läkemedel som har godkänts inom EU finns i gemenskapens register.²

EMA uppmuntrar samtidiga ansökningar om klassificering som sär läkemedel till tillsynsmyndigheter utanför EU och har särskilda arrangemang med tillsynsmyndigheter i USA och Japan. En enda ansökan har utformats för detta ändamål.

Ytterligare resurser

- 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

Referenser

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>

Bilagor

A2-5.08.2-v1.1