Komitety działające w ramach Europejskiej Agencji Leków (ang. European Medicines Agency, EMA): Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. Committee for Orphan Medicinal Products, COMP)

Wprowadzenie

Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych działający w ramach Europejskiej Agencji Leków rozpatruje wnioski o przyznanie statusu „leku sierocego” – tzn. leku, który został sklasyfikowany jako produkt leczniczy opracowywany do celów diagnozy, zapobiegania lub leczenia chorób rzadkich. Zaklasyfikowanie leku do grupy sierocych produktów leczniczych wiąże się z wieloma zachętami do rozwoju prac nad tymi lekami. Poniższy artykuł zawiera więcej informacji na temat rzadkich chorób i omawia koncepcje regulacyjne oraz ustawodawstwo kierujące działalnością Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych.

Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. Committee for

Orphan Medicinal Products, COMP) działający w ramach Europejskiej Agencji Leków

Leki sieroce są stosowane w leczeniu rzadkich chorób.

Choroby rzadkie definiuje się jako schorzenia zagrażające życiu lub przewlekłe (długotrwałe schorzenia, które mają znaczący wpływ na codzienne życie). Na terenie UE mamy z nimi do czynienia w mniej niż 5 przypadkach/10 000 osób – co oznacza, że około 30 mln mieszkańców Unii Europejskiej cierpi na chorobę rzadką.

Objawy (oznaki) chorób rzadkich mogą pojawić się przy urodzeniu lub w dzieciństwie (np. rdzeniowy zanik mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA)), a inne w wieku dorosłym (np. ostra białaczka szpikowa (ang. acute myeloid leukaemia, AML)). 80% chorób rzadkich charakteryzuje się mechanizmem neurodegeneracyjnym (w przypadku którego struktura lub funkcja tkanki ulega pogorszeniu) i/lub proliferacyjnym (w przypadku którego występuje szybka produkcja komórek). Są to schorzenia zazwyczaj o podłożu genetycznym.

Wiedza medyczna i naukowa na temat chorób rzadkich jest wciąż ograniczona. Nadal istnieje wiele chorób rzadkich, które nie zostały jeszcze dostatecznie opisane.

W celu promocji badań i rozwoju metod leczenia chorób rzadkich Unia Europejska wprowadziła rozporządzenie (141/2000[1] WE) zawierające zachęty dla tych producentów, którzy podejmą się opracowania leków sierocych.

Nowe przepisy okazały się sukcesem. W ciągu pierwszych pięciu lat od wdrożenia złożono 458 wniosków o nadanie statusu leku sierocego.

Główne obszary terapeutyczne, w których stosuje się leki

sieroce, obejmują:

- Nowotwory
- Zaburzenia metaboliczne (choroby, które wpływają na metabolizm, reakcje chemiczne w organizmie)
- Immunologię (zaburzenia układu immunologicznego)
- Zaburzenia sercowo-naczyniowe (zaburzenia serca)
- Choroby układu oddechowego (zaburzenia płuc i struktur powiązanych)

Obowiązujące koncepcje regulacyjne oraz ustawodawstwo

Od roku 2000 wnioski o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu leków sierocych na terenie UE muszą być składane na drodze procedury scentralizowanej.

Wnioski o przyznanie statusu leku sierocego można złożyć (bezpłatnie) na każdym etapie opracowywania leku. Jednakże wniosek o przyznanie statusu leku sierocego należy złożyć przed złożeniem do Europejskiej Agencji Leków wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

Aby otrzymać status leku sierocego, lek musi spełniać szereg kryteriów:

- Musi być przeznaczony do leczenia, zapobiegania lub diagnozowania choroby zagrażającej życiu lub przewlekle wyniszczającej.
- Częstość występowania schorzenia na terenie UE nie może przekraczać 5 przypadków na 10000 osób lub jest mało prawdopodobne, by wprowadzenie do obrotu leku było opłacalne na tyle, by uzasadnić inwestycje niezbędne do jego opracowania.
- Brak zadowalającej metody diagnozowania, zapobiegania lub leczenia danego schorzenia. Jeżeli taka metoda istnieje, zastosowanie leku przyniesie znaczące korzyści osobom cierpiącym na tę chorobę.

Procedura nadania statusu leku sierocego zazwyczaj wymaga przestawienia wstępnych danych nieklinicznych i/lub klinicznych (weryfikacji koncepcji). Prośba o przyznanie statusu leku sierocego może dotyczyć leku już dopuszczonego do obrotu, jeśli wniosek o przyznanie statusu dotyczy nowego wskazania terapeutycznego leku sierocego, które aktualnie nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Wnioski o przyznanie statusu leku sierocego są sprawdzane przez Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych działający w ramach Europejskiej Agencji Leków przy zaangażowaniu sieci ekspertów z obszaru UE. Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (ang. Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) powstał w 2000 roku i był to pierwszy komitet, w skład którego wchodzili przedstawiciele pacjentów jako pełnoprawni członkowie komitetu. Przedstawiciele pacjentów są nominowani przez Komisję Europejską. Szczegółowa lista członków Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych jest dostępna na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków.

Po otrzymaniu statusu sierocego produktu leczniczego dla określonego leku, firma korzysta w wielu przywilejów, w tym:

- Pomoc w kwestiach regulacyjnych (doradztwo naukowe właściwe dla leków sierocych) po obniżonej cenie.
- 10-letni okres wyłączności rynkowej po otrzymaniu statusu produktu sierocego dla określonego leku – przez 10 lat po uzyskaniu świadectwa dopuszczenia do obrotu podobne produkty lecznicze innych firm nie uzyskają pozwolenia dla tego samego wskazania terapeutycznego.
- Możliwość obniżenia opłaty związanej z wystąpieniem o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.
- Możliwość ubiegania się o dotacje z programów UE i państw członkowskich oraz inicjatyw w zakresie badań i rozwoju.

Każdego roku sponsorzy mają obowiązek przedkładania do Europejskiej Agencji Leków sprawozdania o stanie opracowania

produktu leczniczego.

Jeżeli lek sierocy ma być stosowany w leczeniu zaawansowanym, wówczas należy złożyć wniosek o zaklasyfikowanie leku jako produktu leczniczego terapii zaawansowanych do rozpatrzenia przez Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (ang. Committee for Advanced Therapies, CAT).

Po zakończeniu procesu opracowywania leku wnioski o dopuszczenie do obrotu są weryfikowane przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (ang. Committee on Medicinal Products for Human Use, CHMP). Po wydaniu przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi pozytywnej opinii o przyznaniu danemu produktowi leczniczemu statusu leku sierocego dokumentacja jest zwracana do Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych. Umożliwia to Komitetowi ds. Sierocych Produktów Leczniczych sprawdzenie, czy kryteria leku sierocego są nadal spełnianie i czy produkt leczniczy utrzymuje status leku sierocego.

Pełną listę uznanych na terenie UE leków sierocych można znaleźć w rejestrze wspólnotowym.[2]

Europejska Agencja Leków zachęca do składania równoległych wniosków o nadanie statusu leku sierocego do organów regulacyjnych spoza UE oraz przyjęła szczególne zasady dotyczące organów regulacyjnych w Stanach Zjednoczonych i Japonii. Do tego celu został opracowany jeden wniosek.

Inne zasoby

- Komisja Europejska (2015). *Orphan medicinal products*. Pobrano 3 września 2015 r. ze strony 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).* Pobrano 3 września 2015 r. ze strony

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

Piśmiennictwo

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

Załączniki

- Arkusz informacyjny: Podsumowanie koncepcji prawnych i przepisów prawa oraz rola organizacji pacjenckich
  Size: 99,702 bytes, Format: .docx
  Niniejsza broszura zawiera przegląd różnych koncepcji prawnych i przepisów prawa dotyczących specjalnych produktów leczniczych, a także informacje na temat roli organizacji pacjenckich w tych procesach regulacyjnych.

A2-5.08.2-v1.1