**Fiche de données : Résumé des concepts réglementaires et de la législation, et rôle des associations de patients**

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **Type de produits** | **Définition du produit** | **Aspects essentiels du parcours réglementaire de la demande et de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché (AMM)** | **Comités scientifiques dédiés** | **Rôle spécifique des associations de patients** |
| **Médicaments orphelins** | Médicaments utilisés dans le traitement des maladies rares (maladies potentiellement mortelles ou chroniquement invalidantes qui n'affectent pas plus de 5 personnes sur 10 000 dans l'UE) | Procédure centralisée de l'Agence européenne des médicaments (EMA) : obligatoire  Demande de désignation de médicament orphelin devant précéder le dépôt de demande d'AMM  Incitations de l'EMA : assistance scientifique et technique ; réduction des frais pour les petites et moyennes entreprises (PME) ; extension de l'exclusivité de commercialisation | COMP (EMA – Comité des médicaments orphelins) : évaluation de la demande de désignation de médicament orphelin | Membres du COMP |

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| **Médicaments de thérapie innovante (ATMP)** | Médicaments complexes fabriqués à partir de gènes et de cellules ou de tissus (différents des médicaments classiques fabriqués à partir de substances chimiques ou de protéines)  Ils représentent des approches innovantes dans le traitement des maladies et des blessures (et pas seulement des maladies génétiques) et découlent des recherches scientifiques de pointe | Procédure centralisée de l'EMA : obligatoire  Au-delà de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité, l'évaluation peut également prendre en considération des critères liés à la nature du produit :  par exemple, le risque environnemental  Une traçabilité complète est exigée  Incitations de l'EMA : réduction des frais | | CAT (EMA - Comité des médicaments de thérapie innovante) : évaluation de la demande d'AMM | Membres du CAT |
| **Médicaments pédiatriques** | Médicaments destinés aux enfants, de la naissance jusqu'à la veille des 18 ans | Procédure centralisée de l'EMA  Soumission d'une proposition de plan d'investigation pédiatrique (PIP) devant précéder la demande auprès de l'EMA (obligatoire pour tous les nouveaux produits pharmaceutiques)  La demande d'AMM doit contenir les résultats et les informations exigés dans le PIP – sauf en cas de dispense de PIP lorsqu'un produit cible des maladies qui ne touchent pas les enfants  Incitations de l'EMA : conseil scientifique et extension de l'exclusivité du brevet | | PDCO (EMA – Comité pédiatrique) : évaluation du PIP et émission d'une dispense de PIP | Membres du CAT |
| **Médicaments génériques** | Médicaments créés pour être identiques à un « médicament de référence » déjà autorisé  Contient les mêmes substances actives et utilisé dans le traitement des mêmes maladies et à la même dose  Mais les excipients, le nom, l'aspect et le goût peuvent être différents | Procédure centralisée de l'EMA (sous conditions) ou  procédures nationales/autres  Dossier de demande : repose sur les données du médicament de référence et sur les données de bioéquivalence du médicament générique par rapport au médicament de référence  AMM accordée uniquement à l'issue de la période d'exclusivité du médicament de référence | | Pas de comité spécifique |  |
| **Médicaments biosimilaires** | Médicaments développés pour être similaires à des médicaments biologiques déjà autorisés (les médicaments biologiques sont des médicaments complexes d'origine biologique ou cellulaire directe ou dérivée, pouvant contenir du sang ou des composés sanguins, des thérapies géniques, des tissus et des protéines). | Procédure centralisée de l'EMA ou procédures nationales/autres  AMM accordée uniquement à l'issue de la période d'exclusivité du médicament biologique (de référence) | Pas de comité spécifique mais  BMWP (EMA – Groupe de travail sur les médicaments biosimilaires) : fournit des recommandations au CHMP et coopère avec les parties intéressées | | Certaines parties intéressées en liaison avec le BMWP |