

STATUSRAPPORT OVER GENNEMFØRELSEN AF EUROPA-PARLAMENTETS OG -RÅDETS FORORDNING OM LÆGEMIDLER TIL SJÆLDNE SYGDOMME

- I april 2000 trådte lovgivningen¹ om lægemidler til sjældne sygdomme i kraft i Den Europæiske Union. Den var ventet med længsel af patienter, der i mange år har lidt af sjældne sygdomme.
- "Lægemidler til sjældne sygdomme" er til behandling af sygdomme, der forekommer så sjældent, at sponsorerne ikke er villige til at udvikle dem på normale markedsbetingelser. Disse lægemidler er til behandling af patienter med livstruende eller meget alvorlige sygdomme, for hvilke der i dag enten ikke findes en behandling eller kun utilfredsstillende behandlingsmuligheder. Mange af disse sygdomme rammer børn og nyfødte.
- EMEA spiller en vigtig ny rolle i fremstødet for at udvikle lægemidler til sjældne sygdomme. Der er nedsat et udvalg og oprettet nye procedurer, som skal udpege "lægemidler til sjældne sygdomme". Sponsorerne tilskyndes til at markedsføre lægemidler til sjældne sygdomme inden for kortest mulig tid. Sådanne incitamenter omfatter muligheden for at anmode EMEA om protokolbistand (videnskabelig rådgivning) og gebyrnedsettelse for alle typer centraliserede aktiviteter, herunder gebyrer til protokolbistand, ansøgning om markedsføringstilladelse, ændringer i tilladelsen og årlige gebyrer.
- Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme (COMP), nedsat i EMEA i april 2000, er det første institutionelle udvalg i Den Europæiske Union, hvor repræsentanter for patientforeninger er ordinære medlemmer, og hvor en af disse er næstformand.
- Sponsorerne har kunnet ansøge EMEA om udpegelse af lægemidler til sjældne sygdomme siden maj 2000, og reaktionen har til dato været betydelig:

<i>Meddelt hensigt om at indgive ansøgning</i>	<i>Indgivne ansøgninger</i>	<i>Tilbage-trukne ansøgninger</i>	<i>Positive COMP-udtalelser</i>	<i>Negative COMP-udtalelser</i>	<i>Udpeget af Kommissionen</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Detaljer vedr. de lægemidler, der er blevet udpeget som lægemidler til sjældne sygdomme, er blevet indført i fællesskabsregisteret for lægemidler til sjældne sygdomme, offentliggjort på Europa-Kommissionens websted (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

- Blandt de ansøgninger om lægemidler til sjældne sygdomme, som EMEA har modtaget eller forventer at modtage, er der midler mod:
 - Genetiske sygdomme, hvor enzybmangel fører til stofskifteforstyrrelser og i sidste instans til en for tidlig død
 - Sygdomme, hvor transplantation i dag er eneste mulighed
 - Patienter med intractable tarmlidelser og svært forringet lungefunktion (cystisk fibrose)
 - Sjældne kræftformer, f.eks. kræft i hjernen, specielt hos børn og yngre voksne. Kræft, hvor der ingen behandlingsmulighed findes, når alle nuværende behandlinger er mislykkedes, f.eks. visse former for blodkræft (leukæmi)

¹ Forordning (EF) nr. 141/2000 af 16. december 1999 og Kommissionens forordning (EF) nr. 847/2000 af 27. april 2000.

² Af de fem negative udtalelser, der er blevet vedtaget til dato, er en ankesag verserende, to ansøgninger er efterfølgende blevet trukket tilbage, en har resulteret i en endelig negativ udtalelse og en i en endelig positiv udtalelse efter at de er blevet anket.

- Neurologiske sygdomme, der medfører lammelse og gradvist død
- Midler, som medvirker til knoglemarvstransplantation med godt resultat.

En række af disse lægemidler udvikles ved hjælp af bioteknologi eller genterapi, de fleste af små og mellemstore europæiske virksomheder.

- I 2001 blev det første lægemiddel til sjældne sygdomme markedsført efter Europa Kommissionen havde udstedt markedsføringstilladelsen. Til dato er 4 markedsføringstilladelser blevet udstedt til produkter til sjældne sygdomme:

Produkt navn	Dato af markedsføringstilladelsen	Sjældne sygdom	Estimeret antal ³ af EU borgere, der er lider af denne sygdom
Fabrazyme	august 2001	Fabrys sygdom	500-1000
Replagal	august 2001	Fabrys sygdom	500-1000
Glivec	november 2001	Kronisk myeloid leukæmi	33 000
Trisenox	marts 2002	Akut promyelocytisk leukæmia	30 000

- Yderligere 15 ansøgninger om markedsføringstilladelser og 1 yderligere ændring af et allerede godkendt lægemiddel til sjældne sygdomme er blevet indsendt til EMEA og er under vurdering.
- De fællesskabsmidler, der i 2001 er blevet stillet til rådighed til at dække gebyrfritagelse for lægemidler til sjældne sygdomme, androg € 1 297 500.
- De fællesskabsmidler, der i 2002 er blevet stillet til rådighed til at dække gebyrfritagelse for lægemidler til sjældne sygdomme, androg € 3 300 000. Endvidere er € 1 900 000 af agenturets grundbidrag sat til side til dækning af møde- og personaleomkostninger. Det store antal positive afgørelser om udpegelse i 2001 vil medføre, at antallet af ansøgninger om markedsføring af lægemidler til sjældne sygdomme vil være højere end ventet i 2002. Til dato er 50 % af dette års midler til gebyrfritagelse allerede blevet fordelt på de indkomne ansøgninger om protokolbistand og markedsføringstilladelser samt opretholdelse af eksisterende markedsføringstilladelser.
- For 2003 har EMEA anmodet om et særligt bidrag på € 6 200 000 til finansiering af gebyrnedsettelsen for lægemidler til sjældne sygdomme i forbindelse med anslåede 20 ansøgninger om markedsføringstilladelser og 20 anmodninger om protokolbistand. Der er blevet ansøgt om yderligere € 2 300 000 i tillæg til agenturets grundbidrag til dækning af møde- og personaleomkostninger i forbindelse med proceduren for udpegelse af lægemidler som lægemidler til sjældne sygdomme samt protokolbistand.

³ Antallet af patienter, der lider af denne sygdom, er estimeret og vurderet if forbindelse med udpegningen. Estimater er baseret på tilgængelig information og udregning indsendt af sponsor på ansøgningstidspunktet og kan derfor afvige fra det sande antal patienter, der lider af sygdommen.

I. OVERSIGT OVER EMEA'S BUDGETBEHOV 2002-2003

År	2002	2003
Antal udpegelser af lægemidler til sjældne sygdomme	85	90
Antal ansøgninger om markedsføring af + protokolbistand til lægemidler til sjældne sygdomme	38	50
Antal ændringer + årligt gebyr for opretholdelse af markedsføringstilladelser	12	44
Særligt bidrag til delvis gebyrfritagelse	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (anslået)
Bidrag fra EU's grundtilskud til EMEA's møde- og personaleomkostninger	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (anslået)

--SLUT--