



**ΕΚΘΕΣΗ ΚΑΤΑΣΤΑΣΗΣ ΣΧΕΤΙΚΑ ΜΕ ΤΗΝ ΕΦΑΡΜΟΓΗ ΤΟΥ ΚΑΝΟΝΙΣΜΟΥ ΤΟΥ  
ΕΥΡΩΠΑΪΚΟΥ ΚΟΙΝΟΒΟΥΛΙΟΥ ΚΑΙ ΤΟΥ ΣΥΜΒΟΥΛΙΟΥ ΓΙΑ ΤΑ ΟΡΦΑΝΑ  
ΦΑΡΜΑΚΕΥΤΙΚΑ ΠΡΟΪΟΝΤΑ**

- Η νομοθεσία<sup>1</sup> για τα ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα, την οποία για πολλά χρόνια ανέμεναν ανυπόμονα οι ασθενείς που πάσχουν από σπάνιες ασθένειες, τέθηκε σε ισχύ στην Ευρωπαϊκή Ένωση τον Απρίλιο του 2000.
- Τα «ορφανά» φαρμακευτικά προϊόντα προορίζονται για την αντιμετώπιση καταστάσεων που εμφανίζονται τόσο σπάνια ώστε οι χορηγοί είναι απρόθυμοι να αναλάβουν το κόστος της ανάπτυξής τους υπό τους συνήθεις εμπορικούς όρους. Τα συγκεκριμένα φαρμακευτικά προϊόντα προορίζονται για την αγωγή ασθενών που έχουν προσβληθεί από νόσους που απειλούν τη ζωή τους ή ιδιαίτερα σοβαρές νόσους, για την αντιμετώπιση των οποίων δεν υπάρχουν έως σήμερα θεραπείες ή υπάρχουν μόνο μη ικανοποιητικές επιλογές θεραπείας. Μεγάλος αριθμός αυτών των ασθενειών προσβάλλουν παιδιά και νεογνά.
- Ο EMEA διαδραματίζει σημαντικό ρόλο στην παροχή κινήτρων για την ανάπτυξη ορφανών φαρμακευτικών προϊόντων. Συστάθηκε μία επιτροπή και καθιερώθηκαν διαδικασίες για τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμακευτικών προϊόντων. Θα δοθούν κίνητρα στους υποστηρικτές προκειμένου τα ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα να τεθούν σε κυκλοφορία στην αγορά αλλά και στη διάθεση των ασθενών όσον το δυνατόν συντομότερα. Στα κίνητρα αυτά περιλαμβάνεται η δυνατότητα αιτήσεως για συνδρομή στην κατάρτιση πρωτοκόλλων (επιστημονικών συμβουλών) από τον EMEA και η μείωση των τελών για όλους τους τύπους κεντρικών δραστηριοτήτων, συμπεριλαμβανομένων των τελών για συνδρομή στην κατάρτιση πρωτοκόλλων, για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, των τελών τροποποιήσεων και των ετήσιων τελών.
- Η Επιτροπή Ορφανών Φαρμακευτικών Προϊόντων (COMP), η οποία συστάθηκε στο πλαίσιο του EMEA τον Απρίλιο του 2000, είναι η πρώτη θεσμική επιτροπή της Ευρωπαϊκής Ένωσης, της οποίας τακτικά μέλη αποτελούν εκπρόσωποι οργανισμών ασθενών, ένας εκ των οποίων είναι ο αντιπρόεδρος.
- Οι υποστηρικτές είχαν τη δυνατότητα να υποβάλουν αιτήσεις στον EMEA για τον χαρακτηρισμό ορφανών φαρμακευτικών προϊόντων από τον Μάιο του 2000 και η ανταπόκριση μέχρι σήμερα είναι σημαντική:

| Κοινοποιη-μένες προθέσεις υποβολής αίτησης | Αιτήσεις που υποβλήθηκαν | Αιτήσεις που αποσύρθηκαν | Θετικές γνώμες της COMP | Αρνητικές γνώμες της COMP | Φάρμακα που χαρακτηρίστηκαν ως ορφανά από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή |
|--------------------------------------------|--------------------------|--------------------------|-------------------------|---------------------------|------------------------------------------------------------------|
| 47                                         | 169                      | 43                       | 101                     | 1 <sup>2</sup>            | 98                                                               |

Λεπτομερή στοιχεία για φαρμακευτικά προϊόντα που έχουν χαρακτηριστεί ως ορφανά καταχωρίστηκαν στο κοινοτικό μητρώο ορφανών φαρμακευτικών προϊόντων, το οποίο δημοσιεύεται στην ιστοθέση της Ευρωπαϊκής Επιτροπής (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

<sup>1</sup> Κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 141/2000 της 16ης Δεκεμβρίου 1999 και κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 847/2000 της Επιτροπής της 27ης Απριλίου 2000

<sup>2</sup> Από τις πέντε αρνητικές γνώμες που υιοθετήθηκαν, μία προσφυγή βρίσκεται εν εξελίξει. Δύο αιτήσεις αποσύρθηκαν, μία αίτηση κατέληξε σε τελική αρνητική γνώμη και μία, μετά από προσφυγή κατέληξε σε θετική γνώμη.

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB, UK

Tel: (44-20) 74 18 84 00 Fax: (44-20) 75 23 70 40

E-mail: [webmaster@emea.eu.int](mailto:webmaster@emea.eu.int) <http://www.emea.eu.int>

- Μεταξύ των αιτήσεων που έχουν ήδη ληφθεί ή αναμένονται από τον EMEA για σπάνιες νόσους, περιλαμβάνονται προϊόντα για:
    - γενετικές νόσους, στις οποίες η ανεπάρκεια ενζύμων προκαλεί διαταραχές του μεταβολισμού, με αποτέλεσμα τον πρόωρο θάνατο·
    - νόσους για τις οποίες σήμερα μόνη επιλογή είναι η μεταμόσχευση
    - ασθενείς που πάσχουν από δυσίατες εντερικές διαταραχές και παρουσιάζουν σοβαρή ανεπαρκή πνευμονική λειτουργία (κυστική ίνωση)·
    - σπάνιες μορφές καρκίνου, όπως ο καρκίνος του εγκεφάλου, ιδιαίτερα στα παιδιά και τους ενήλικες νεαρής ηλικίας. Μορφές καρκίνου για τις οποίες δεν υπάρχουν επιλογές αγωγής, εφόσον καμία από τις διαθέσιμες αγωγές δεν είχε επιτυχή αποτελέσματα, όπως για ορισμένους τύπους καρκίνου του αίματος (μορφές λευχαιμίας)·
    - νευρολογικές διαταραχές που οδηγούν σε παραλυσία και σταδιακά στον θάνατο·
    - προϊόντα τα οποία θα συμβάλουν στην επιτυχή μεταμόσχευση μυελού των οστών.
- Ορισμένα από αυτά τα φαρμακευτικά προϊόντα αναπτύσσονται από τους τομείς της βιοτεχνολογίας ή της γονιδιακής θεραπείας, συνήθως από ευρωπαϊκές μικρομεσαίες επιχειρήσεις.
- Τα πρώτα ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα κυκλοφόρησαν στην αγορά μετά τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή το 2001. Μέχρι σήμερα 4 άδειες κυκλοφορίας έχουν δοθεί για ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα.

| Όνομα προϊόντος | Ημερομηνία άδειας κυκλοφορίας | Ορφανή ένδειξη               | Εκτίμηση πάσχοντος πληθυσμού <sup>3</sup> στην ΕΕ |
|-----------------|-------------------------------|------------------------------|---------------------------------------------------|
| Fabrazyme       | Αυγустος 2001                 | Νόσος του Fabry              | 500-1000                                          |
| Replagal        | Αυγустος 2001                 | Νόσος του Fabry              | 500-1000                                          |
| Glivec          | Νοέμβριος 2001                | Χρόνια μυελογενής λευχαιμία  | 33 000                                            |
| Trisenox        | Μάρτιος 2002                  | Οξεία προμυελωτική λευχαιμία | 30 000                                            |

- Επιπροσθέτως, 15 αιτήσεις για άδεια κυκλοφορίας και μία τροποποίηση για εγκεκριμένο ορφανό φαρμακευτικό προϊόν έχουν υποβληθεί στον EMEA και επι του παρόντος είναι υπό εξέταση.
- Σε σύνολο, 1 297 500 ευρώ από τα κοινοτικά κονδύλια χρησιμοποιήθηκαν μέσα στο 2001 για τη χρηματοδότηση απαλλαγών από την κατάθεση παραβόλου για ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα..
- Το 2002 η Κοινότητα διέθεσε κονδύλια ύψους 3.300.000 ευρώ, για την κάλυψη των απαλλαγών από την καταβολή τελών για ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα. Επιπλέον, 1.900.000 ευρώ από τη βασική επιχορήγηση του Οργανισμού διατέθηκαν για την κάλυψη των δαπανών συνεδριάσεων και προσωπικού. Ο μεγάλος αριθμός φαρμάκων που χαρακτηρίστηκαν ως ορφανά το 2001 θα έχει ως συνέπεια την αύξηση του προβλεπόμενου αριθμού αιτήσεων χορήγησης άδειας κυκλοφορίας στο 2002. Μέχρι σήμερα, το 50 % της χρηματοδότησης του έτους αυτού, η οποία προορίζεται για τις απαλλαγές από την καταβολή τελών, έχει ήδη διατεθεί για αιτήσεις, οι οποίες υποβλήθηκαν για την παροχή συνδρομής στην κατάρτιση πρωτοκόλλων

<sup>3</sup> Ο αριθμός των ασθενών που προσβάλλονται από τη νόσο εκτιμάται και αξιολογείται για το σκοπό του χαρακτηρισμού. Αυτή η εκτίμηση βασίζεται σε διαθέσιμες πληροφορίες και υπολογισμούς που κατατίθενται από τον υποστηρικτή κατά την υποβολή της αίτησης και πιθανό να διαφέρει από τον πραγματικό αριθμό ασθενών που προσβάλλονται από τη νόσο.

και για την χορήγηση άδειας κυκλοφορίας και τη διατήρηση στην αγορά των υπαρχόντων αδειών κυκλοφορίας.

- Για το 2003, ο ΕΜΕΑ έχει ζητήσει την καταβολή ειδικής συνεισφοράς ύψους 6.200.000 ευρώ, με σκοπό τη χρηματοδότηση των μειώσεων τελών για περίπου 20 αιτήσεις χορήγησης άδειας κυκλοφορίας και 20 αιτήσεις συνδρομής στην κατάρτιση πρωτοκόλλων. Όσον αφορά τη βασική επιχορήγηση του Οργανισμού, έχει ζητηθεί συμπληρωματικό ποσό ύψους 2.300.000 ευρώ, για την κάλυψη των δαπανών συνεδριάσεων και προσωπικού, οι οποίες προορίζονται για την διαδικασία χαρακτηρισμού ορφανών φαρμάκων και για την παροχή συνδρομής στην κατάρτιση πρωτοκόλλων.

#### **I. ΓΕΝΙΚΗ ΕΠΙΣΚΟΠΗΣΗ ΤΩΝ ΑΝΑΓΚΩΝ ΤΟΥ ΠΡΟΫΠΟΛΟΓΙΣΜΟΥ ΤΟΥ ΕΜΕΑ ΓΙΑ ΤΑ ΕΤΗ 2002-2003**

| <b>Έτος</b>                                                                                                 | <b>2002</b>               | <b>2003</b>               |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------|---------------------------|
| Αριθμός φαρμακευτικών προϊόντων που έχουν χαρακτηριστεί ως ορφανά                                           | 85                        | 90                        |
| Αριθμός αιτήσεων χορήγησης άδειας κυκλοφορίας + συνδρομή για την κατάρτιση πρωτοκόλλων                      | 38                        | 50                        |
| Αριθμός τροποποιήσεων + το ετήσιο τέλος για τη διατήρησης της άδειας κυκλοφορίας                            | 12                        | 44                        |
| Ειδική συνεισφορά για εν μέρει απαλλαγές από την καταβολή τελών                                             | € 3.300.000               | € 6.200.000<br>(πρόβλεψη) |
| Συνεισφορά από τη βασική επιχορήγηση της ΕΕ για την κάλυψη των δαπανών συνεδριάσεων και προσωπικού του ΕΜΕΑ | € 1.900.000<br>(πρόβλεψη) | € 2.300.000<br>(πρόβλεψη) |

ΤΕΛΟΣ