

INFORME DE SITUACIÓN SOBRE LA APLICACIÓN DEL REGLAMENTO DEL PARLAMENTO Y CONSEJO EUROPEOS SOBRE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

- La legislación¹ sobre medicamentos huérfanos, esperada con impaciencia durante años por cuantos padecen enfermedades raras, entró en vigor en la Unión Europea en abril de 2000.
- Los medicamentos “huérfanos” se aplican al tratamiento de enfermedades tan infrecuentes que los patrocinadores no tienen interés en desarrollarlos en condiciones de mercado normales. Están destinados a pacientes con enfermedades muy graves o que suponen una amenaza para la vida, y para las cuales en la actualidad no hay tratamiento o sólo existen opciones terapéuticas que no son satisfactorias. Un gran número de estas enfermedades afectan a niños y recién nacidos.
- La EMEA desempeña un nuevo e importante papel, el de estimular el desarrollo de medicamentos huérfanos. Se ha constituido un comité y se ha establecido un procedimiento para la designación de estos medicamentos. Se concederán incentivos a los patrocinadores para que sus productos huérfanos lleguen al mercado y a los pacientes en el plazo más corto posible. Entre estos incentivos figuran la posibilidad de solicitar asistencia de la EMEA en la elaboración de protocolos (consulta científica) y la concesión de reducciones de las tasas para todos los tipos de actividades centralizadas, como las tasas de asistencia en la elaboración de protocolos, las tasas relacionadas con las solicitudes de autorización de comercialización y sus modificaciones, y las tasas anuales.
- El Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP), creado en la EMEA en abril de 2000, es el primero de carácter institucional de la Unión Europea en el que figuran como miembros de pleno derecho representantes de las organizaciones de pacientes, uno de los cuales ostenta el cargo de vicepresidente.
- Los patrocinadores pueden enviar a la EMEA solicitudes de designación de medicamentos huérfanos desde mayo de 2000, y la respuesta hasta la fecha ha sido ya considerable:

<i>Notificaciones de la intención de presentar una solicitud</i>	<i>Solicitudes presentadas</i>	<i>Solicitudes retiradas</i>	<i>Dictámenes positivos del COMP</i>	<i>Dictámenes negativos del COMP</i>	<i>Denominaciones concedidas por la Comisión</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Los detalles acerca de los medicamentos huérfanos designados se han introducido en el Registro comunitario de medicamentos huérfanos, publicado en la página Web de la Comisión Europea (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

- En las solicitudes ya recibidas o notificadas a la EMEA en relación con enfermedades raras se contemplan productos para:
 - enfermedades de origen genético en las que un déficit enzimático da lugar a trastornos metabólicos y por último el fallecimiento precoz,
 - enfermedades para las que la única opción en la actualidad es el trasplante

¹ Reglamento (CE) aprobado No 141/2000 de 16 de Diciembre de 1999 y Reglamento de la Comisión (CE) No 847/2000 de 27 de Abril de 2000

² De las cinco opiniones negativas adoptadas hasta la fecha, hay una apelación pendiente, dos solicitudes han sido posteriormente retiradas, una ha concluido en una decisión final negativa y una ha concluido en una opinión final positiva tras una apelación.

- pacientes con trastornos intestinales sin tratamiento y función pulmonar gravemente deficitaria (fibrosis quística),
- cánceres raros, como los de cerebro, sobre todo en niños y adultos jóvenes. Cánceres para los que no existe opción terapéutica una vez que han fracasado todos los tratamientos actualmente disponibles, como ciertos tipos de cánceres de la sangre (leucemias),
- trastornos neurológicos que producen parálisis y eventualmente la muerte,
- productos que ayudarán a que los trasplantes de médula ósea tengan éxito.

Algunos de estos medicamentos son desarrollados mediante biotecnología o terapia génica, en su mayor parte por laboratorios europeos de pequeño y mediano tamaño.

- En el 2001, se comercializaron los primeros medicamentos huérfanos tras la concesión de autorizaciones de comercialización por parte de la Comisión Europea. Hasta la fecha se han concedido 4 autorizaciones de comercialización para medicamentos huérfanos.

Nombre del medicamento	Fecha de la Autorización de Comercialización	Enfermedad Huérfana	Número estimado ³ de ciudadanos de la UE afectados por la enfermedad.
Fabrazyme	Agosto 2001	Enfermedad de Fabry	500-1000
Replagal	Agosto 2001	Enfermedad de Fabry	500-1000
Glivec	Noviembre 2001	Leucemia mieloide crónica	33 000
Trisenox	Marzo 2002	Leucemia promielocítica aguda	30 000

- Se han presentado a la EMEA otras 15 solicitudes de autorización de comercialización y una solicitud de modificación para un medicamento huérfano ya autorizado. Dichas solicitudes están actualmente en proceso de evaluación.
- En el 2001 se usaron un total de € 1 297 500 de Fondos Comunitarios para financiar exenciones de tasas de medicamentos huérfanos.
- En el 2002, los fondos asignados por la Comunidad para las exenciones de tasas de medicamentos huérfanos han ascendido a € 3.300.000. Asimismo, se han reservado € 1900.000 de la subvención básica de la Agencia para cubrir los costes de las reuniones y del personal. El gran número de designaciones concedidas en el 2001 dará lugar a un número de solicitudes de comercialización de medicamentos huérfanos mayor del esperado a lo largo de 2002. Hasta la fecha, ya se ha asignado el 50% de la financiación del presente año de las exenciones de tasas a las solicitudes presentadas para asistencia en la elaboración de protocolos y, así como en el mantenimiento de las autorizaciones de comercialización de medicamentos huérfanos ya existentes.
- Para el 2003, la EMEA ha solicitado una contribución especial de € 6 200 000 para financiar las reducciones de tasas de medicamentos huérfanos para unas 20 solicitudes de autorización de comercialización y 30 peticiones de asistencia en la elaboración de protocolos. Se han solicitado € 2 300 000 adicionales de la subvención básica de la Agencia para sufragar los gastos de personal y de reuniones del proceso de designación de medicamentos huérfanos y el apoyo a la asistencia en la elaboración de protocolos.

³ El número de pacientes afectados por la enfermedad se estima y evalúa con el fin de obtener la designación. La estimación se basa en la información disponible y los cálculos presentados por el patrocinador en el momento de presentar la solicitud y, por tanto, pueden ser diferentes del número real de pacientes afectados por la enfermedad.

I. RESUMEN DE LAS NECESIDADES PRESUPUESTARIAS DE LA EMEA EN 2002-2003

Año	2002	2003
Número de designaciones de medicamentos huérfanos	85	90
Número de solicitudes de comercialización de medicamentos huérfanos + asistencia en la elaboración de protocolos	38	50
Número de modificaciones + tasa anual de mantenimiento de la autorización de comercialización	12	44
Contribución especial para exenciones parciales de las tasas	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (estimación)
Contribución de la subvención básica de la UE a la financiación de los gastos de reuniones y de personal de la EMEA	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (estimación)

--FIN--