

RELAZIONE SULL'APPLICAZIONE DEL REGOLAMENTO DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO RELATIVO AI MEDICINALI ORFANI

- La normativa¹ sui medicinali orfani, attesa impazientemente per lunghi anni da pazienti affetti da malattie rare, è entrata in vigore nell'Unione europea nell'aprile 2000.
- I medicinali 'orfani' vengono utilizzati per il trattamento di patologie talmente rare che gli sponsor non sono disposti a svilupparli alle normali condizioni di mercato. Questi medicinali sono indicati per la cura di pazienti con patologie molto gravi o che costituiscono una minaccia per la vita, per le quali oggi o non esiste alcun trattamento oppure soltanto trattamenti insoddisfacenti. Un gran numero di queste malattie colpisce bambini e neonati.
- Attualmente l'EMA svolge un ruolo importante nell'incoraggiare lo sviluppo di medicinali orfani. Un comitato e una procedura sono stati stabiliti per definire quali siano questi medicinali orfani. Gli sponsor riceveranno incentivi per introdurre sul mercato e quindi distribuire ai pazienti i medicinali orfani nel minor tempo possibile. Tali incentivi includono la possibilità di richiedere assistenza per l'elaborazione dei protocolli (parere scientifico) all'EMA e riduzione dei diritti relativi a tutte le attività centralizzate incluse l'assistenza per l'elaborazione dei protocolli, la richiesta per l'autorizzazione al commercio o variazioni, o la riduzione dei i diritti annuali.
- Il Comitato per i medicinali orfani (COMP) creato all'interno dell'EMA nell'aprile 2000, è il primo comitato istituzionale dell'Unione europea in cui i rappresentanti delle organizzazioni del malato, uno dei quali è il vicepresidente, sono membri a pieno titolo.
- Dal maggio 2000 gli sponsor hanno avuto la possibilità di presentare all'EMA domande per la denominazione dei medicinali orfani ed i risultati sono considerevoli:

<i>Intento di registrazione notificato</i>	<i>Domande presentate</i>	<i>Domande ritirate</i>	<i>Pareri favorevoli del COMP</i>	<i>Pareri sfavorevoli del COMP</i>	<i>Denominazioni concesse dalla Commissione</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Per maggiori informazioni relative ai medicinali orfani si rimanda al registro comunitario dei medicinali orfani disponibile sul sito Web della Commissione europea (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

- Tra le domande pervenute o ancora attese dall'EMA per malattie rare si annoverano prodotti per:
 - malattie genetiche in cui la deficienza di enzimi porta a disfunzioni metaboliche;
 - malattie in cui il trapianto oggi è l'unica alternativa;
 - pazienti che hanno malattie intestinali non trattabili e una funzione polmonare gravemente deficitaria (fibrosi cistica);
 - rare forme di cancro, come ad esempio tumori del cervello, in particolare nei bambini e nei giovani adulti. Forme di cancro per le quali non esistono terapie, dal momento in cui

¹ Regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio del 16 dicembre 1999 e regolamento (CE) n. 847/2000 della Commissione del 27 aprile 2000.

² È in corso una procedura d'appello riguardo uno dei cinque pareri sfavorevoli adottati fino ad ora. Riguardo i rimanenti pareri sfavorevoli, due domande sono state successivamente ritirate, una è risultata in una decisione finale negativa e un'altra è risultata in una opinione finale positiva in seguito a procedura d'appello.

tutte le terapie disponibili sono fallite, come nel caso di alcune forme di cancro del sangue (leucemie);

- malattie neurologiche che portano alla paralisi e progressivamente alla morte;
- prodotti che possono aiutare con successo il trapianto di midollo osseo.

Alcuni di questi medicinali sono sviluppati dalla biotecnologia o dalla terapia genetica, soprattutto da parte di aziende europee di piccole o medie dimensioni.

- Nel 2001, i primi farmaci orfani hanno raggiunto il mercato avendo ottenuto un'autorizzazione all'immissione in commercio dalla Commissione europea. Attualmente la Commissione europea ha concesso 4 autorizzazioni all'immissione in commercio per farmaci orfani:

Nome del medicinale	Data di autorizzazione	Patologia	Stima del numero di persone affette da tale patologia nell'UE ³
Fabrazyme	agosto 2001	Malattia di Fabry	500-1000
Replagal	agosto 2001	Malattia di Fabry	500-1000
Glivec	novembre 2001	Leucemia mieloide cronica	33 000
Trisenox	marzo 2002	Leucemia promielocitica acuta	30 000

- In aggiunta, altre 15 domande di autorizzazione all'immissione in commercio e una variazione a un'autorizzazione esistente sono state presentate all'EMA e sono attualmente in fase di valutazione.
- Nel 2001, un totale di € 1 297 5000 appartenente ai fondi della Comunità è stato utilizzato allo scopo di sovvenzionare l'esenzione dai costi relativi ai medicinali orfani.
- Nel 2002 la Comunità ha stanziato un importo pari a € 3 300 000 per l'esenzione dai diritti relativi ai medicinali orfani. Sono stati inoltre accantonati € 1 900 000 della sovvenzione di base dell'Agenzia per i costi delle riunioni e dell'organico. L'ampio numero di designazioni concesse nel 2001 porterà ad un numero più elevato del previsto di domande di autorizzazione all'immissione in commercio di medicinali orfani nel 2002. Al momento attuale il 50% del finanziamento per l'anno in corso relativo all'esenzione dai diritti è stato destinato a nuove domande di assistenza per l'elaborazione dei protocolli, di autorizzazione all'immissione in commercio e al mantenimento delle esistenti autorizzazioni all'immissione in commercio per farmaci orfani.
- Per il 2003 l'EMA ha richiesto un contributo straordinario di € 6 200 000 destinato a finanziare la riduzione dei diritti sui medicinali orfani per approssimativamente 20 domande di autorizzazione all'immissione in commercio e 30 richieste di assistenza tecnica. È stato inoltre sollecitato un importo supplementare di € 2 300 000 sulla sovvenzione di base dell'Agenzia per coprire i costi delle riunioni e dell'organico relativi all'assegnazione della qualifica e all'assistenza per l'elaborazione dei protocolli.

³ Il numero delle persone affette dalla patologia è stimato e valutato allo scopo della designazione e pertanto può essere diversa dal reale numero di persone affette da tale patologia. La stima si basa sull'informazione disponibile e ulteriori calcoli presentati dallo sponsor relativi al momento della domanda.

PANORAMICA DELLE NECESSITÀ DI BILANCIO DELL'EMEA 2002-2003

Anno	2002	2003
Numero di denominazioni per medicinali orfani	85	90
Numero di domande di autorizzazione all'immissione in commercio e di assistenza tecnica	38	50
Numero di variazioni + diritti annuali per il mantenimento dell'autorizzazione all'immissione in commercio	12	44
Contributi speciali per esenzioni parziali dai diritti spettanti all'Agenzia	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (previsioni)
Contributi dell'UE sulla sovvenzione di base per coprire i costi delle riunioni e dell'organico EMEA	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (previsioni)

--FINE--