

RELATÓRIO SOBRE A IMPLEMENTAÇÃO DO REGULAMENTO DO PARLAMENTO EUROPEU E DO CONSELHO SOBRE MEDICAMENTOS ÓRFÃOS

- Em Abril de 2000, entrou em vigor na União Europeia a legislação¹ sobre medicamentos órfãos, aguardada há muitos anos pelos doentes que sofrem de patologias raras.
- Os medicamentos designados “órfãos” destinam-se ao tratamento de patologias tão raras que os promotores não demonstram interesse no seu desenvolvimento em condições normais de mercado. Estes medicamentos destinam-se ao tratamento de indivíduos com doenças potencialmente fatais ou muito graves, para as quais não existe presentemente tratamento ou cujas opções terapêuticas existentes não são satisfatórias. Muitas destas patologias afectam crianças ou recém-nascidos.
- A EMEA desempenha um papel fundamental no fomento do desenvolvimento de medicamentos órfãos. Foram criados um comité e um procedimento para a designação de medicamentos “órfãos”. Os promotores irão receber incentivos para desenvolver e comercializar medicamentos órfãos no mais curto intervalo de tempo possível. Tais incentivos incluem a possibilidade de requerer assistência protocolar (aconselhamento científico) à EMEA e obter reduções das taxas aplicáveis a todos os tipos de actividades segundo o procedimento centralizado, incluindo taxas de assistência protocolar, taxas de pedido de autorização de introdução no mercado, taxas de alteração e taxas anuais.
- O Comité dos Medicamentos Órfãos (COMP), criado pela EMEA em Abril de 2000, é o primeiro Comité institucional da União Europeia, que integra representantes de associações de doentes na qualidade de membros efectivos, assumindo um deles o cargo de vice-presidente.
- A partir de Maio de 2000, os promotores passaram a ter a possibilidade de apresentar à EMEA pedidos de autorização de introdução no mercado para medicamentos órfãos, tendo-se verificado, até à data, um número considerável de respostas:

<i>Notificação de Intenção de apresentar pedido de designação</i>	<i>Pedidos apresentados</i>	<i>Pedidos retirados</i>	<i>Pareceres positivos do COMP</i>	<i>Pareceres negativos do COMP</i>	<i>Designações atribuídas pela Comissão</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Informações detalhadas sobre os medicamentos designados “órfãos” encontram-se disponíveis no Registo Comunitário dos Medicamentos Órfãos publicado no *website* da Comissão Europeia, no seguinte endereço: <http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>.

- Entre os pedidos de autorização de introdução no mercado já recebidos, ou cuja recepção está prevista pela EMEA, relativos a medicamentos para tratamento de patologias raras, incluem-se produtos destinados a:
 - doenças genéticas em que uma deficiência enzimática produz alterações metabólicas, e, eventualmente, a morte precoce;
 - doenças em que, presentemente, o transplante constitui a única opção,

¹ Regulamento (CE) n.º 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho, de 16 de Dezembro de 1999, e Regulamento (CE) n.º 847/2000 da Comissão, de 27 de Abril de 2000

² Dos 5 pareceres negativos adoptados até à data, está a decorrer um procedimento de recurso. Duas aplicações foram subsequentemente retiradas, uma aplicação resultou numa decisão final negativa e outra resultou num parecer final positivo após procedimento de recurso.

- doentes com patologias incuráveis do aparelho gastrointestinal e função pulmonar gravemente deficitária (fibrose quística);
- neoplasias raras, nomeadamente neoplasias cerebrais malignas, em especial nas crianças e jovens adultos. Neoplasias malignas para as quais não exista qualquer opção terapêutica quando todos os tratamentos presentemente disponíveis falham, por exemplo, certos tipos de neoplasias malignas do sangue (leucemias);
- perturbações neurológicas que conduzem a paralisia e, progressivamente, à morte;
- produtos que contribuam para o êxito dos transplantes de medula óssea.

Alguns destes medicamentos são desenvolvidos recorrendo à biotecnologia ou terapêutica genética, na sua maioria por empresas farmacêuticas europeias de pequena e média dimensão.

- Em 2001 os primeiros medicamentos órfãos chegaram ao mercado após concessão de autorização de introdução no mercado pela Comissão Europeia. Até à data foram concedidas 4 autorizações de introdução no mercado para medicamentos órfãos.

Nome do medicamento	Data da Autorização de Introdução no Mercado	Patologia Órfã	Estimativa ³ do número de cidadãos da EU afectados pela patologia
Fabrazyme	Agosto de 2001	Doença de Fabry	500-1000
Replagal	Agosto de 2001	Doença de Fabry	500-1000
Glivec	Novembro de 2001	Leucemia mielóide crónica	33 000
Trisenox	Março de 2002	Leucemia mielóide crónica	30 000

- Foram, igualmente, apresentadas na EMEA 15 pedidos de autorização de introdução no mercado e 1 pedido de alteração para um medicamento órfão já autorizado que se encontram em fase de avaliação.
- Uma verba total de € 1 297 500 proveniente de fundos comunitários foi utilizada em 2001 para financiar a isenção de taxas de medicamentos órfãos.
- Em 2002, os montantes disponibilizados pela Comissão para isenções de taxas aplicáveis aos medicamentos órfãos elevam-se a 3 300 000 euros. Além disso, a EMEA reservou 1 900 000 euros provenientes do seu subsídio básico destinados a cobrir as despesas relacionadas com encontros e os custos do pessoal. Devido ao elevado número de designações concedidas em 2001, o número dos pedidos de autorização de introdução no mercado para medicamentos órfãos será em 2002 mais elevado do que se esperava. Até à data, 50% dos montantes destinados à isenção de taxas já foram atribuídos a pedidos apresentados para obtenção de assistência protocolar e da autorização de introdução no mercado e para a manutenção das respectivas autorizações.
- Para 2003, a EMEA requereu uma contribuição especial no valor de 6 200 000 euros destinada ao financiamento das isenções de taxas aplicáveis aos medicamentos órfãos, que se calcula vir a ser aplicada a 20 pedidos de autorização de introdução no mercado e 30 pedidos de assistência protocolar. Foi solicitado um montante adicional no valor de 2 300 000 euros a acrescentar ao subsídio básico da Agência, destinado a cobrir as despesas relacionadas com encontros e os

³ O número de doentes afectados pela patologia é estimado e avaliado para efeitos da designação. Esta estimativa baseia-se em informação disponível e em projecções apresentadas pelo promotor quando da submissão do pedido e pode, portanto, diferir do número real de doentes afectados pela patologia.

custos do pessoal decorrentes do procedimento de designação de medicamentos órfãos e do apoio prestado no âmbito da assistência protocolar.

I. REVISÃO GERAL DAS NECESSIDADES ORÇAMENTAIS DA EMEA PARA 2002-2003

Ano	2002	2003
Número de designações de medicamentos órfãos	85	90
Número de pedidos de autorização de introdução no mercado de medicamentos órfãos + assistências protocolares	38	50
Número de alterações + taxa anual para manutenção da autorização de introdução no mercado	12	44
Contribuição especial para isenções parciais de taxas	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (estimativa)
Contribuição do subsídio básico da UE para as despesas da EMEA referentes a reuniões e a custos de pessoal	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (estimativa)

--FIM--