



LÄGESRAPPORT OM GENOMFÖRANDET AV EUROPAPARLAMENTETS OCH EUROPEISKA RÅDETS FÖRORDNING OM SÄRLÄKEMEDEL

- Lagstiftningen (¹) om särskilda läkemedel, ivrigt emotsedd sedan många år av patienter som lider av sällsynta sjukdomar, trädde i kraft i Europeiska unionen i april 2000.
- Så kallade särskilda läkemedel är avsedda för behandling av tillstånd som uppträder så sällan att sponsorerna är ovilliga att utveckla dem på normala marknadsvillkor. Dessa läkemedel är avsedda för behandling av patienter med livshotande eller mycket allvarliga sjukdomar för vilka det i dag saknas behandling eller för vilka det endast finns otillfredsställande behandlingsalternativ. Ett stort antal av dessa sjukdomar drabbar barn och nyfödda.
- EMA spelar en viktig ny roll när det gäller att stimulera utvecklingen av särskilda läkemedel. En kommitté har inrättats och ett förfarande upprättats för att klassificera läkemedel som särskilda läkemedel. Sponsorerna kommer att erbjudas stimulansåtgärder för att föra ut särskilda läkemedel på marknaden och till patienten inom minsta möjliga tidsramar. Sådana åtgärder kan vara exempelvis möjligheten att begära protokollhjälp (vetenskaplig rådgivning) från EMA och reducerade avgifter för alla typer av centraliserade verksamheter, exempelvis avgifter för protokollhjälp, ansökan om godkännande för försäljning, ändringar och årsavgifter.
- Kommittén för särskilda läkemedel (COMP, Committee for Orphan Medicinal Products), som tillsattes vid EMA i april 2000, är Europeiska unionens första institutionella kommitté där företrädare för patientorganisationer är fullvärdiga medlemmar, och där en av dem är vice ordförande.
- Sponsorerna har kunnat lämna in ansökningar om klassificering som särskilda läkemedel till EMA sedan i maj 2000 och gensvaret har hittills varit betydande:

<i>Avsikt att lämna in meddelad</i>	<i>Inlämnade ansökningar</i>	<i>Återkallade ansökningar</i>	<i>Positiva COMP-yttranden</i>	<i>Negativa COMP-yttranden</i>	<i>Klassificeringar som beviljats av kommissionen</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Uppgifter om klassificerade särskilda läkemedel har förts in i gemenskapens register över särskilda läkemedel som offentliggörs på Europeiska kommissionens webbplats (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

- Bland de ansökningar om läkemedel för sällsynta sjukdomar som EMA redan fått eller väntar sig att få finns följande:
 - Genetiska sjukdomar där enzymbrist leder till metaboliska störningar och slutligen till för tidig död.
 - Sjukdomar där transplantation i dag är den enda möjligheten.
 - Patienter med svårbehandlade tarmproblem och allvarliga brister i lungfunktionen (cystisk fibros).

⁽¹⁾ Förordning (EG) nr 141/2000, antagen den december 1999, och kommissionens förordning (EG) nr 847/2000 av den 27 april 2000

² Av fem negativa yttranden antagna till dags dato pågår ett överklagande. Två ansökningar har senare återkallats, en ansökning har resulterat i ett slutgiltigt negativt yttrande och en ansökning har resulterat i ett slutgiltigt positivt yttrande efter överklagande.

- Sällsynta cancerformer, som hjärncancer hos framför allt barn och unga vuxna. Cancer där det inte finns några terapeutiska möjligheter när alla nu tillgängliga terapier har misslyckats, såsom vid vissa typer av blodcancer (leukemi).
- Neurologiska besvär som leder till förlamning och stegvis till döden.
- Läkemedel som bidrar till att benmärgstransplantation lyckas.

Ett antal av dessa läkemedel utvecklas med hjälp av bioteknik eller genterapi, oftast av små och medelstora europeiska företag.

- Under 2001 nådde de första sär läkemedlen marknaden efter Europeiska Kommissionens utfärdanden av godkännande för försäljning. Till dags dato har fyra godkännanden för försäljning utfärdats för sär läkemedel:

Läkemedel	Datum för godkännande	Klassificerat tillstånd	Uppskattat antal ³ EU medborgare som lider av tillståndet
Fabrazyme	augusti 2001	Fabrys sjukdom	500-1000
Replagal	augusti 2001	Fabrys sjukdom	500-1000
Glivec	november 2001	Kronisk myeloisk leukemi (KML)	33 000
Trisenox	march 2002	Akut promyeloisk leukemi (APL)	30 000

- Ytterligare 15 ansökningar om godkännanden för försäljning och ett ytterligare ändringsförfarande för ett centralt godkänt sär läkemedel har inkommit till EMEA och är för närvarande under granskning.
- 2001 uppgick gemenskapens avgiftsbefrielser för sär läkemedel till totalt 1 297 500 euro.
- 2002 uppgick gemenskapens avgiftsbefrielser för sär läkemedel till 3300 000 euro. Dessutom har 1 900 000 euro av myndighetens grundbidrag avsatts för att täcka mötes- och personalkostnader. Det stora antal klassificeringar som beviljades under 2001 kommer att leda till att antalet ansökningar om godkännande av försäljningstillstånd för sär läkemedel blir högre än förväntat under 2002. Hittills har 50 % av årets medel för avgiftsbefrielse redan tilldelats inkommande ansökningar om protokollhjälp och godkännande för försäljning samt underhåll av de godkännanden för försäljning för sär läkemedel som utfärdats.
- För 2003 har EMEA äskat ett särskilt bidrag på 6 200 000 euro för att finansiera avgiftssänkningar för sär läkemedel för ungefär 20 ansökningar om godkännande för försäljning och 30 önskemål om protokollhjälp. Ytterligare 2 300 000 euro av myndighetens grundbidrag har äskats för att täcka personal- och möteskostnader för klassificeringsprocessen för sär läkemedel och protokollhjälp.

³ Antalet patienter som lider av tillståndet är uppskattat och utrett för ändamålet av klassificeringen. Detta uppskattade antal är baserat på tillgänglig information och beräkningar presenterade av sponsorn vid tiden för ansökan och kan därför skilja sig från det sanna antalet patienter som lider av tillståndet.

I. ÖVERSIKT ÖVER EMEA:S BUDGETBEHOV 2002-2003

År	2002	2003
Antal ansökningar om klassificering som sär läkemedel	85	90
Antal ansökningar om godkännande för försäljning av sär läkemedel + protokollhjälp	38	50
Antal ändringar + årsavgift för att godkännandet för försäljning skall fortsätta att gälla	12	44
Särskilt bidrag för partiell avgiftsbefrielse	3 300 000 euro	6 200 000 euro (beräknat)
Bidrag från EU:s grundbidrag till EMEA:s mötes- och personalkostnader	1 900 000 euro (beräknat)	2 300 000 euro (beräknat)

--SLUT--