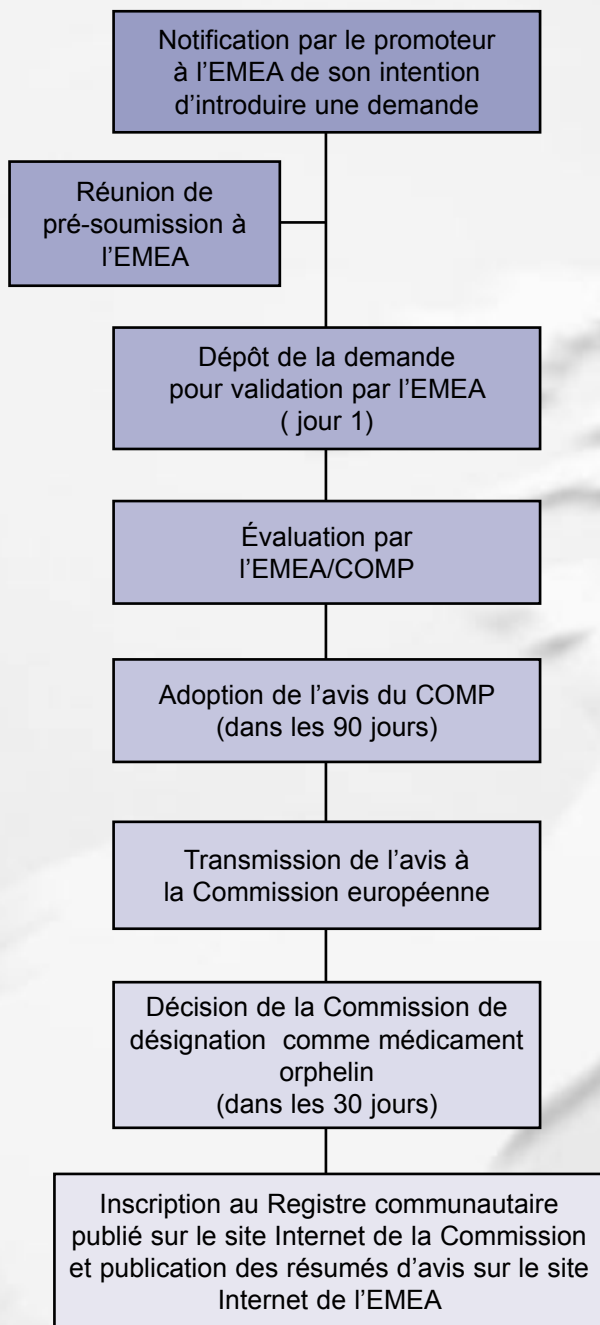


## Aperçu de la procédure de désignation des médicaments orphelins



## Agence Européenne pour l'évaluation des Médicaments



## Agence Européenne pour l'évaluation des Médicaments

# La désignation des médicaments orphelins dans l'Union européenne

### COMITÉ DES MÉDICAMENTS ORPHELINS (COMP)

président: **Pr. J. Torrent-Farnell**  
vice-président: **M. Y. Le Cam**

Le comité se compose d'un membre nommé par chacun des États membres, de trois membres représentant les associations de patients et de trois membres nommés sur recommandation de l'EMA.

### POUR DE PLUS AMPLES INFORMATIONS, CONTACTER :

EMA Scientific Advice & Orphan Drugs Sector  
7 Westferry Circus  
Canary Wharf  
Londres E14 4HB  
Royaume-Uni

Tél.: (44-20) 74 18 84 00

Fax: (44-20) 75 23 70 40

e-mail: [orphandrugs@emea.eu.int](mailto:orphandrugs@emea.eu.int)

Website : [www.emea.eu.int](http://www.emea.eu.int)



## QUE FAIT L'EMEA?

---

L'Agence Européenne pour l'évaluation des Médicaments (EMA), par l'intermédiaire de son comité des médicaments orphelins (COMP), est chargée de l'examen des demandes de désignation déposées par des personnes physiques ou morales (appelées "sponsors") souhaitant développer des médicaments destinés au traitement de maladies rares, appelés "médicaments orphelins". Lors des réunions de pré-soumission, l'Agence aide les "sponsors" à préparer leur demande de désignation comme médicament orphelin. Après obtention de la désignation par la Commission, l'Agence délivre également des conseils scientifiques pour le développement des médicaments orphelins (assistance à l'élaboration de protocoles)

## QUE SONT LES MÉDICAMENTS ORPHELINS?

---

Les médicaments "orphelins" sont destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement de maladies rares, très graves ou entraînant une menace pour la vie et dont la prévalence ne dépasse pas cinq cas sur dix mille personnes dans l'Union Européenne. Les entreprises pharmaceutiques sont peu enclines à développer ces médicaments dans les conditions normales de marché, leur coût de mise sur le marché ne pouvant être compensé par les ventes escomptées en l'absence de mesures d'incitation.

## COMMENT LE DÉVELOPPEMENT DES MÉDICAMENTS ORPHELINS EST-IL ENCOURAGÉ?

---

Une loi visant à inciter les promoteurs et l'industrie pharmaceutique à développer des médicaments orphelins a été introduit dans l'Union Européenne.

Les médicaments pouvant bénéficier des mesures d'incitation répertoriées au verso doivent avoir été préalablement désignés comme médicaments orphelins par la procédure de désignation communautaire.

## QUELLES SONT CES MESURES D'INCITATION?

---

### ★ **Exclusivité commerciale**

Les médicaments orphelins bénéficient d'une exclusivité commerciale dans la Communauté Européenne de dix ans consécutivement à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché (autorisation de commercialisation). Au cours de cette période, aucun autre médicament similaire et directement concurrent ne peut normalement être mis sur le marché.

### ★ **Assistance à l'élaboration de protocoles**

L'EMA peut formuler des conseils scientifiques afin d'optimiser le développement et orienter la préparation d'un dossier de demande de mise sur le marché de sorte qu'il satisfasse aux exigences réglementaires européennes. Le demandeur d'autorisation de mise sur le marché pour un médicament orphelin maximise ainsi ses chances de réussite pour l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché.

### ★ **Accès à la procédure centralisée**

Les médicaments orphelins ont un accès direct à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché passant par l'EMA.

### ★ **Exonérations de redevances**

Afin d'accorder de telles exonérations de redevances, l'EMA utilise une contribution spéciale accordée par la Commission européenne et soumise annuellement à l'approbation du Parlement Européen. Les réductions de redevances sont envisagées pour toutes les activités de l'EMA concernant les médicaments orphelins, en particulier les redevances relatives à la soumission du dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché, aux inspections, aux demandes de variations et à l'assistance au développement (élaboration des protocoles).

### ★ **Recherche financée par l'Union Européenne**

Les structures développant des médicaments orphelins peuvent se voir allouer des crédits dans le cadre de programmes et initiatives de la Communauté et des États membres en faveur de la recherche et du développement (dont les programmes-cadres communautaires).

## QU'ENTEND-ON PAR DÉSIGNATION DE MÉDICAMENT ORPHELIN?

---

Une telle désignation confère le statut d'orphelin à un médicament sur la base des critères énoncés dans le règlement (CE) n° 1411/2000 et donne accès aux mesures d'incitation spécifiques. La désignation de médicament orphelin peut être obtenue à tous moments, quel que soit le stade de développement du médicament, à condition que l'utilisation revendiquée soit scientifiquement justifiée. La procédure de désignation est une procédure gratuite.

La désignation de médicament orphelin n'équivaut pas à une recommandation d'utilisation de ce médicament pour l'affection désignée car elle ne signifie nullement que ce médicament satisfait aux critères d'efficacité, de tolérance et de qualité nécessaires à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché. Comme pour tous autres médicaments, ces critères ne pourront être évalués que lorsque le dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché aura été soumis.

## SOURCES D'INFORMATION UTILES

---

Documents explicatifs, communiqués de presse du COMP et résumés publics d'avis pour chaque médicament orphelin:  
<http://www.emea.eu.int>

Registre communautaire des médicaments orphelins et inventaire des mesures d'incitation communautaires et nationales pour les médicaments orphelins:  
<http://pharmacos.eudra.org/F2/>

Sixième programme-cadre:  
<http://www.cordis.lu/en/home.html>

Programme d'action communautaire relatif aux maladies rares (2003-2008):  
[http://europa.eu.int/comm/health/ph\\_programme/programme\\_fr.htm](http://europa.eu.int/comm/health/ph_programme/programme_fr.htm)