



PLATAFORMA
MALALTIES MINORITÀRIES



Fundació Doctor Robert
UAB



Sant Pau

Medicamentos huérfanos en la Unión Europea

Josep Torrent-Farnell

Servicio de Farmacología Clínica, Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (Barcelona)

Universidad Autónoma de Barcelona(UAB)

Miembro Comité de Productos Medicinales Huérfanos (COMP) de la Agencia Europea del
Medicamento (EMA)

25 Aniversario AARPC

29 de junio de 2013



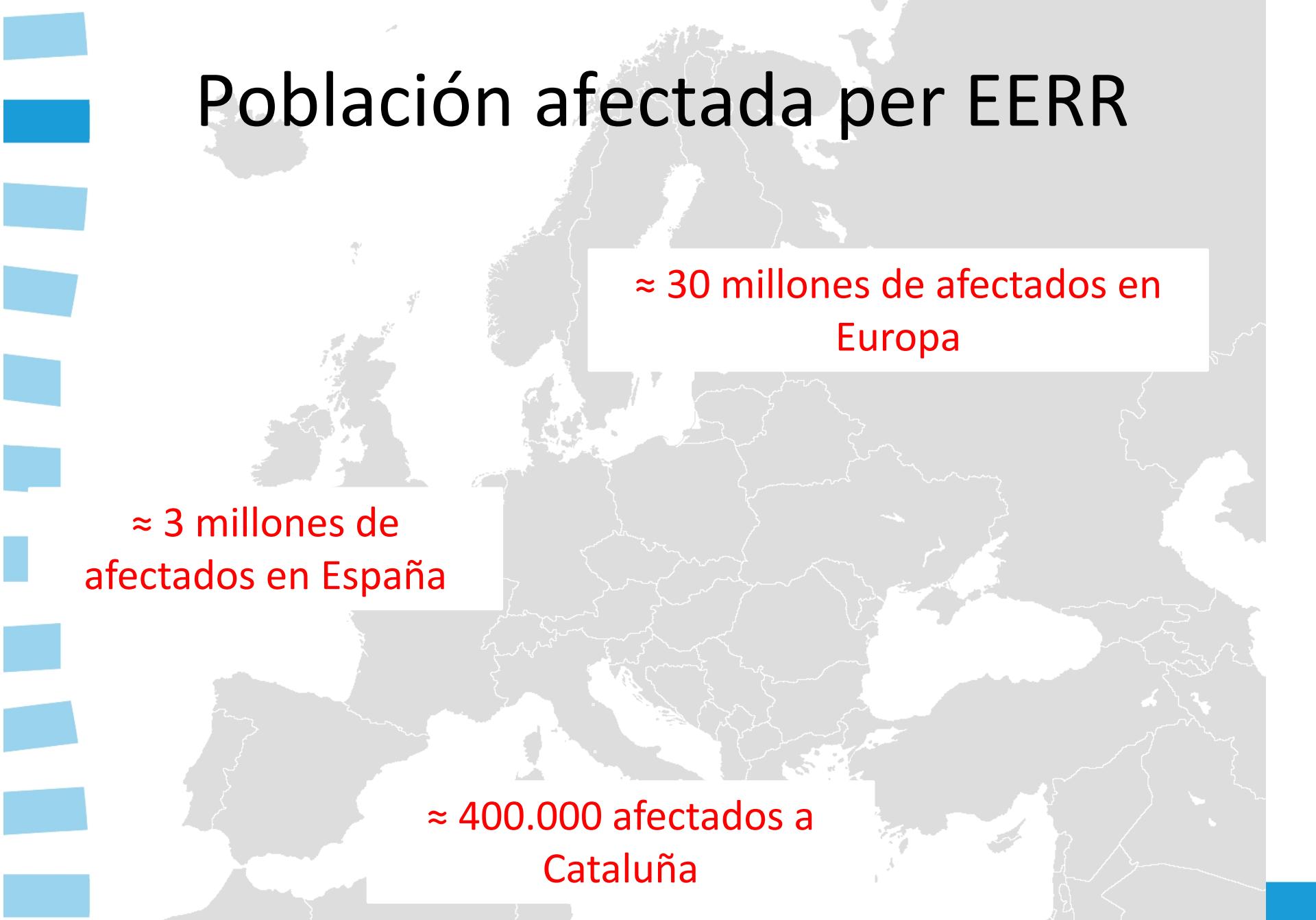
25è aniversari
AARPC. Associació
d'Afectats de Retinosi
Pigmentària a Catalunya



Prevalencia inferior a los 5 casos cada 10.000 habitantes

Más de 6.000-8.000 enfermedades raras identificadas (OMS)

Población afectada per EERR



¿Qué es un medicamento huérfano?

- Medicamentos destinados a tratar cualquier enfermedad con una prevalencia inferior a los 5 casos cada 10.000 habitantes.
- Se incluyen vacunas, tratamientos curativos y preventivos y agentes diagnósticos.
- No se incluyen medidas dietéticas ni productos sanitarios.



REGLAMENTO EC No 141/2000

Las enfermedades raras antes del año 2000



Pacientes



Salud
Pública



Profesionales
sanitarios

Desarrollo en medicamentos antes del año 2000

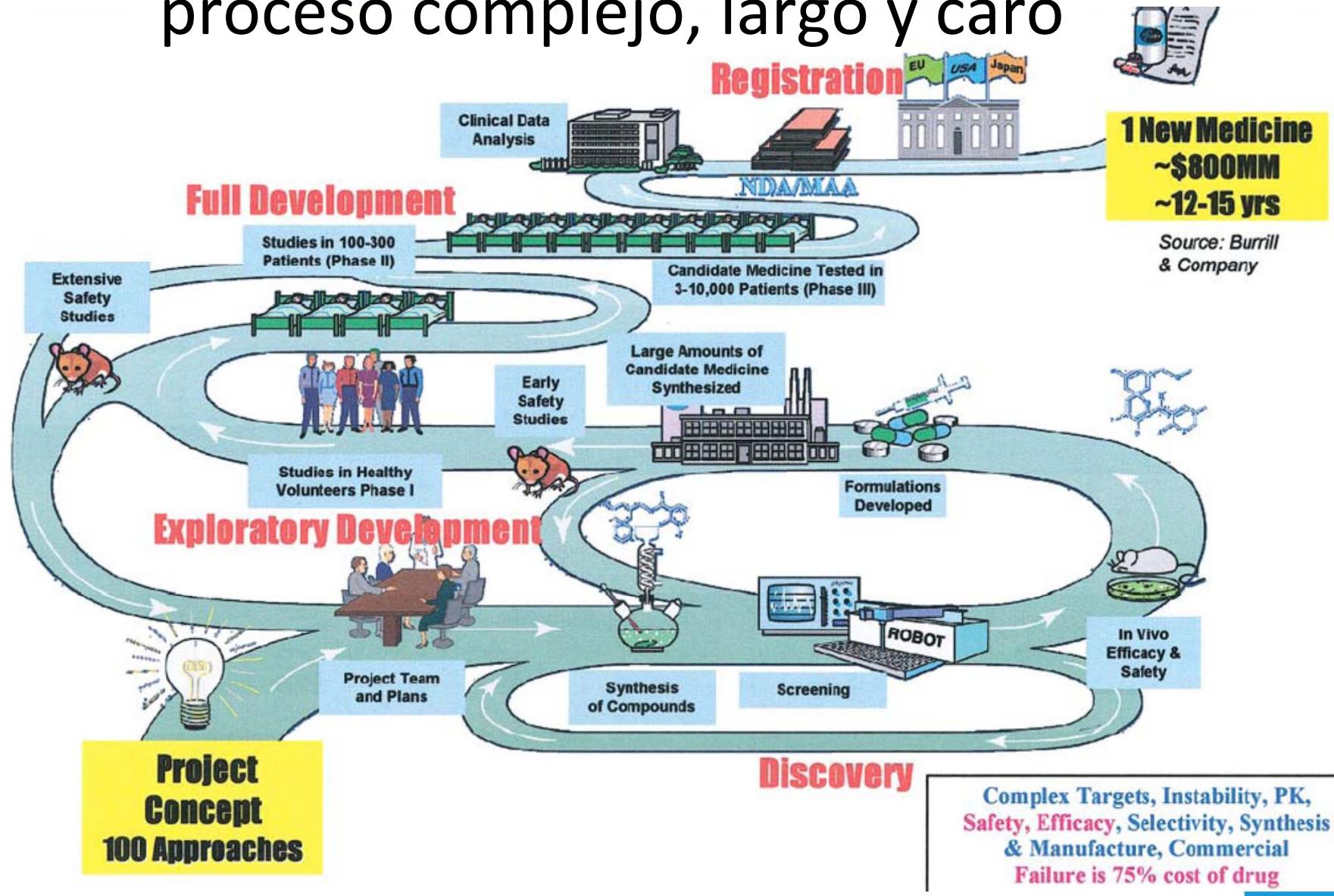


**Medicamentos
convencionales**



**Medicamentos
huérfanos**

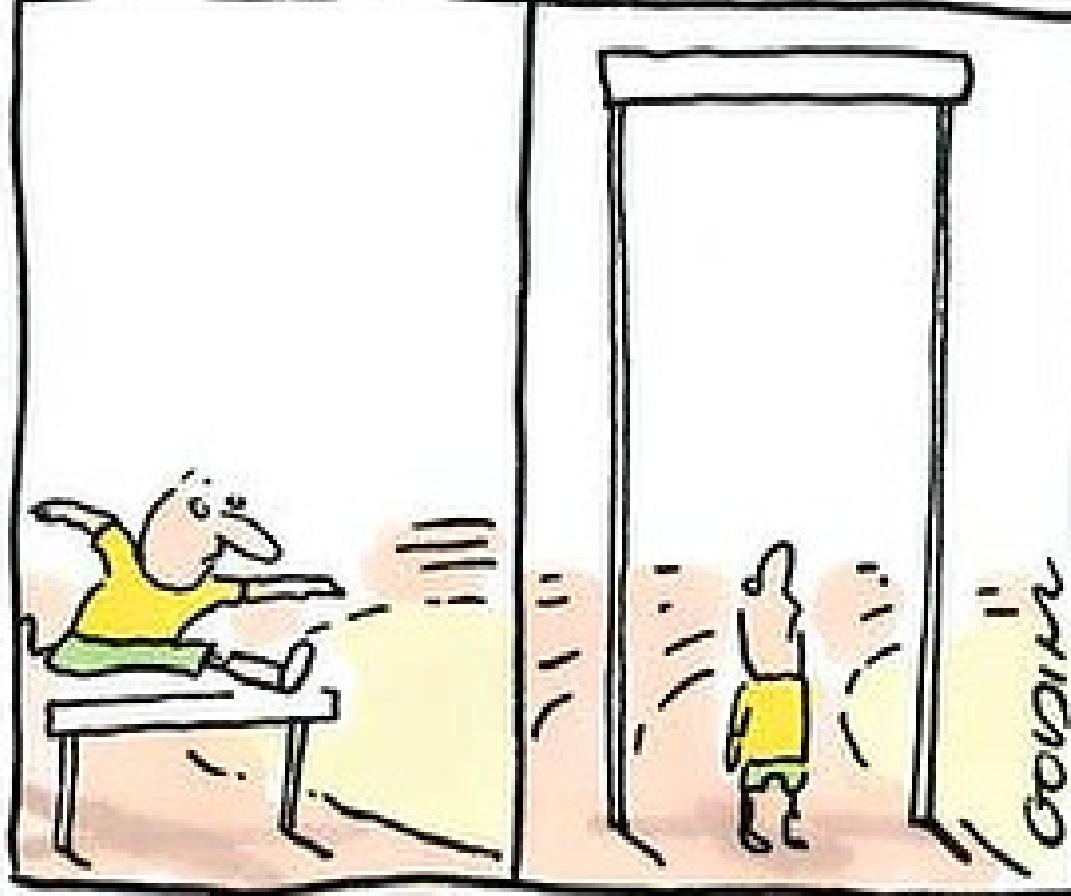
El desarrollo de medicamentos es un proceso complejo, largo y caro





Desarrollo
medicamentos
enfermedades
prevalentes

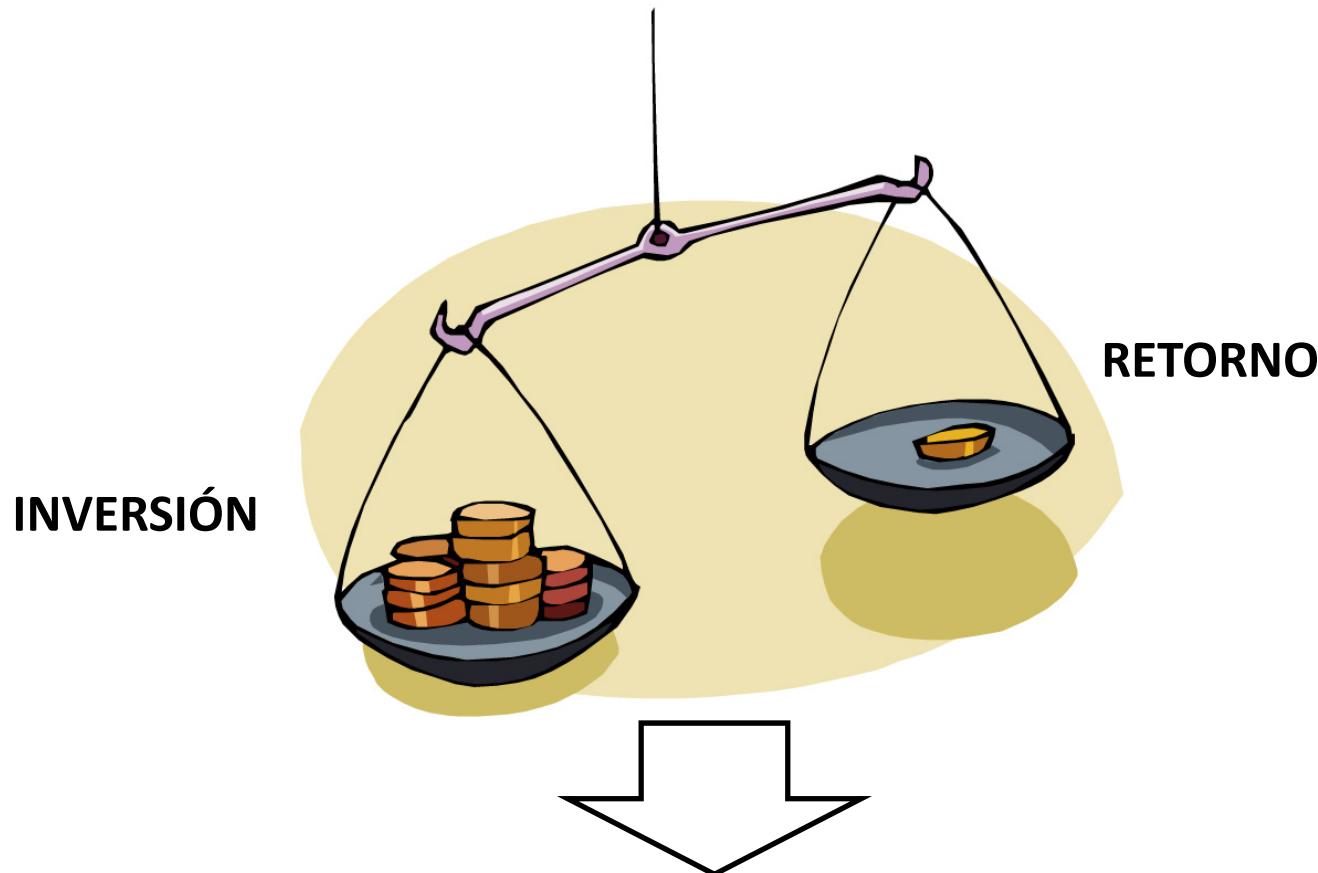
Desarrollo
medicamentos
enfermedades
raras



Dificultades añadidas en el desarrollo de medicamentos para EERR



¿Porqué existe un déficit de medicamentos huérfanos?



Menor interés en desarrollar fármacos para ER



La situación antes del año 2000 en EU

- Industria farmacéutica no desarrolla medicamentos para enfermedades raras bajo condiciones normales de mercado

PERO...

- Los pacientes afectados por “enfermedades raras” tienen derecho a recibir medicamentos con la misma calidad y con las mismas exigencias de eficacia y seguridad que el resto de los pacientes.



Comité de medicamentos huérfanos (COMP)



- Designa medicamentos huérfanos ⇒ Proporciona incentivos y supervisa políticas de medicamentos huérfanos en la UE
- 35 miembros (**3 de ellos representantes de pacientes**)

Los medicamentos designados, ¿están ya disponibles para ser prescritos?



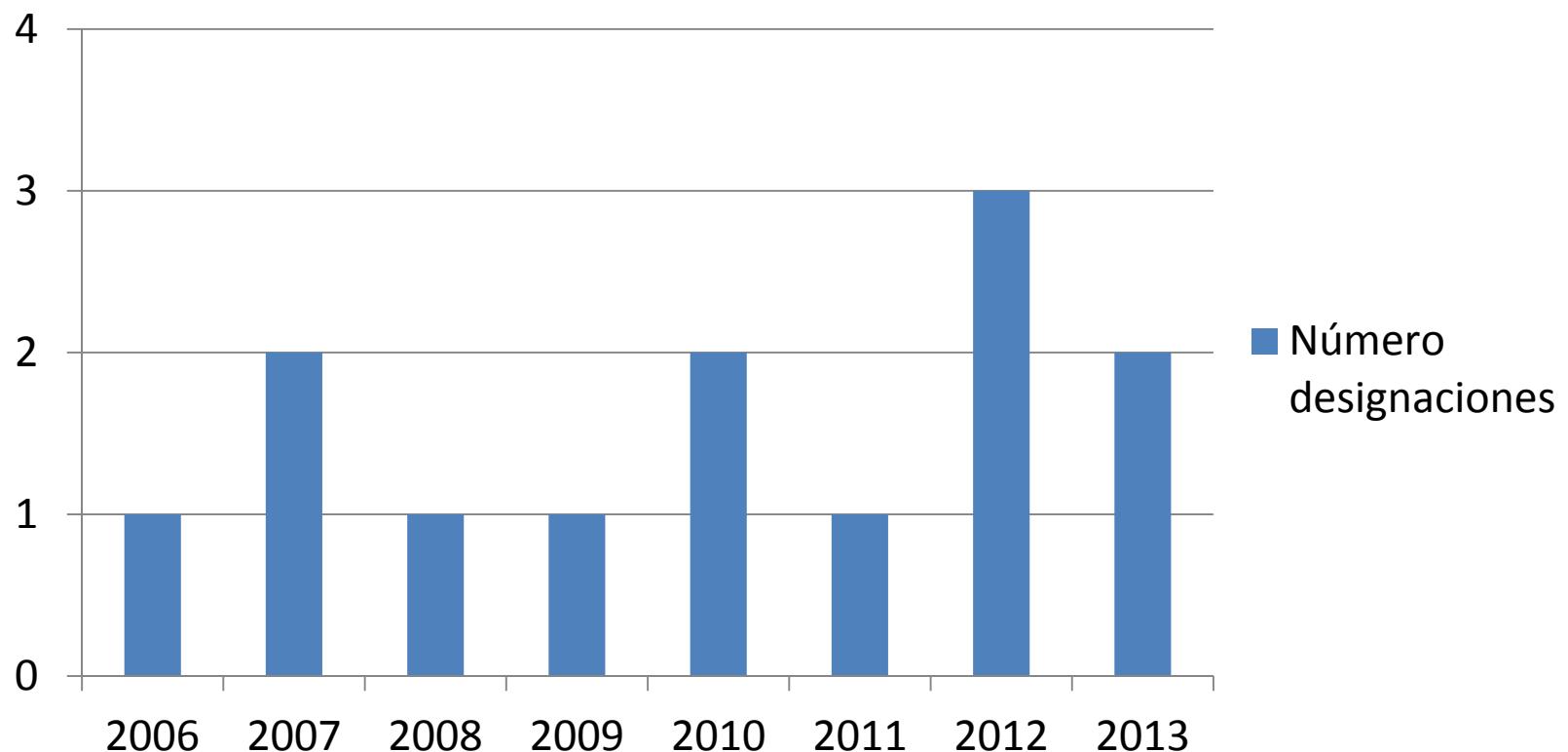
Hitos de la Regulación europea

- > 1100 designaciones huérfanas: c:a 30% productos innovadores (fusion proteins, monoclonal antibodies, oligonucleotides)
- >7% terapias avanzadas (celular/génica/tisular)
- Tasa opiniones positivas ≈ 70 % ⇒ Gate opener

- **70 Medicamentos huérfanos comercializados**
 - 1 Medicamento huérfano de terapia avanzada comercializado

Medicamentos huérfanos designados para retinosis pigmentaria

OD Retinosis pigmentaria



Medicamentos huérfanos designados

Terapias génicas (5)

- Adenovirus associated viral vector serotype 4 containing the human RPE65 gene
- Lentiviral vector containing the human MYO7A gene
- Adeno-associated viral vector containing DNA encoding an RNAi targeting rhodopsin / adeno-associated viral vector containing a rhodopsin gene
- Adeno-associated viral vector encoding an inducible short hairpin RNA targeting claudin-5 (prior to administration of 17-dimethylaminoethylamino-17-demethocycleganamycin)
- Encapsulated human retinal pigment epithelial cell line transfected with plasmid vector expressing human ciliary neurotrophic factor

Terapia celular (1)

- Allogeneic human umbilical cord tissue-derived cells

Medicamentos huérfanos designados

Tratamientos biotecnológicos (4)

- Recombinant human rod-derived cone viability factor
- Recombinant human proinsulin
- Recombinant human methionine proinsulin
- Recombinant human nerve growth factor

Otros (3)

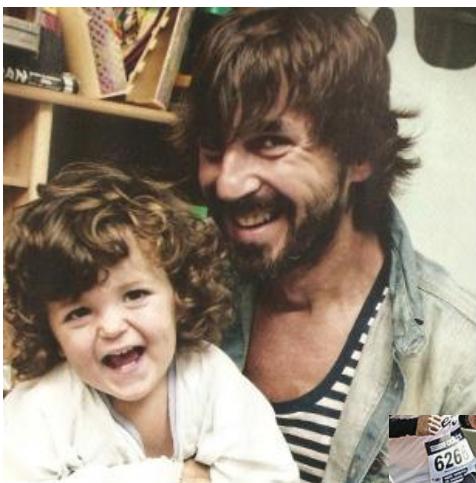
- 17-(Dimethylaminoethylamino)-17-demethoxygeldanamycin (after administration of adeno-associated viral vector encoding an inducible short hairpin RNA targeting claudin-5)
- 4,7,10,13,16,19-Docosahexaenoic acid
- 9-cis-Retinyl acetate

12 Redes de proyectos de investigación en Europa

www.ema.europa.eu

www.orpha.net

Asociación pacientes: Concienciación y participación ciudadana



25 ANYS MI RANT PER TU



<http://www.malaltiesminorities.uab.cat>
<https://www.facebook.com/plataformamalaltiesminorities>