HOSPITAL DE LA SANTA CREU I SANT PAU
UNIVERSITAT AUTÒNOMA DE BARCELONA

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Fundació Salut i Envelliment UAB

NOTA DE PREMSA

15 anys de la constitució del Comitè de Medicaments Orfes de la EMA

Més d'1.300 Medicaments Orfes es troben en fase de recerca i 100 han rebut autorització de comercialització

- **A Espanya, es calcula que més de 3 milions de persones pateixen una malaltia minoritària, 400.000 d'elles a Catalunya.**

Barcelona, 20 d'abril 2015.-Des de que en 1999 es creés el Comitè de Medicaments Orfes de l'Agència Europea de Medicaments (EMA), la recerca i desenvolupament de noves alternatives terapèutiques per millorar la qualitat de vida dels pacients i familiars de malalties minoritàries ha experimentat un creixement exponencial. De fet, en aquests últims 15 anys, 100 medicaments orfes han rebut l'autorització de comercialització i, actualment, més d'1.300 es troben en fase de recerca.

Què és Comitè de Medicaments Orfes, COMP?

És el comitè a l'Agència de Medicines europea que responsable de revisar els dossiers de medicaments orfes de les persones o empreses que busquen "designació de producte orfe".Aquesta designació és per medicines que es volen desenvolupar per la diagnosi, prevenció o tractament de malalties minoritàries. A la Unió Europea (UE), una malaltia és definida com a minoritària quan afecta a un màxim de5 de cada 10,000 habitants.

El COMP és també responsable d'aconsellar la Comissió europea en l'establiment i desenvolupament d'una política en productes orfes en la UE, i assisteix la Comissió dins dissenyant i guies molt detallades i cooperant internacionalment en els assumptes relacionats en medicaments orfes.

Els membres de COMP són nomenats pels Estats de Membre, i aquest és escollit en base a les seves qualificacions i perícia amb relació a l'avaluació de productes medicinals.

Per representar organitzacions pacients, la Comissió Europea fixa tres membres i tres membres més, independents en la base d'una recomanació de l'Agència.

Tots els membres serveixen en el Comitè per un període renovable de tres anys.

A l'enllaç següent es pot accedir als detalls de les responsabilitats del COMP, composició i les funcions dels seus membres.
http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Regulatory_and_procedural_guideline/2009/10/WC500004736.pdf

Membres del COMP

una cadira, escollit per servir membres de COMP;
un membre nomenat per cadascun dels 28 Estats Membre;
tres membres nomenats per la Comissió europea per representar les organitzacions dels pacients;
tres membres nomenats per la Comissió europea per recomanació de l'Agència;
un membre nomenat per Islàndia i un per Noruega.

Què són les Malalties Minoritàries?

- **Hi ha més de 7.000 malalties minoritàries**
- **Afecten a 5 de cada 10.000 persones**
- **Hi ha 400.000 catalans afectats**
- **Al voltant del 80% són d'origen genètic**
- **Poden afectar el 3-4% dels nounats**

Una malaltia minoritària és una malaltia greu, poc freqüent i que afecta a un nombre reduït de persones. L'existència de tantes malalties, amb pocs pacients per a cadascuna, les fan poc conegudes també per als professionals de la medicina. Sovint el pacient i les seves famílies han de passar per desenes de proves i visitar nombrosos especialistes fins a tenir un diagnòstic definitiu.

Generalment impliquen diversos òrgans i afecten les capacitats físiques, habilitats mentals, i les qualitats sensorials i de comportament dels malalts. L'afecció pot ser visible des del naixement o la infantesa, però n'hi ha que no apareixen fins a l'edat adulta. Són malalties greus o molt greus, cròniques i generalment degeneratives. **Tot i que en la majoria dels casos no existeix un tractament definitiu, sí que es pot aconseguir una millora en la qualitat i esperança de vida d'aquests pacients.**

Quants afectats de malalties minoritàries hi ha a la Unió Europea, Espanya i Catalunya?

A Europa s'ha fixat un límit epidemiològic per delimitar aquestes malalties fins a cinc casos per cada 10.000 habitants (és a dir, 1 cas per cada 2.000 habitants). Això representa un sostre fins a 250.000 casos o afectats per cadascuna d'aquestes malalties en els 27 estats membres de la Unió Europea. Per damunt d'aquest llindar es considera que són malalties convencionals i que per tant no necessiten de polítiques i ajuts específics.
Avui s'estima que entre un 6 i un 8% de la població general pot estar afectada per qualsevol d'aquestes malalties. A la Unió Europea es considera que hi ha entre 30 i 35 milions d'afectats (dada equivalent a la població conjunta d'Holanda, Bèlgica i Luxemburg). A Espanya s'estima que els afectats superen els 3 milions i a Catalunya les dades reflecteixen més de 400.000 afectats.

Quinesrecomanacionss'estanfent a Europa per abordar aquestaproblemàtica?

Des de les Plataformes EUCERD (www.eucerd.eu) i IRdIRC (www.irdirc.org) s'estàimpulsant la millora en la intervenció en salut pública i la recerca i desenvolupament de noves teràpies:

- **Identificar experts** i crear les xarxesd'experts i centres de referència per al diagnòstic, valoració, seguiment i tractamentdelsafectats i llurs famílies.
- **Afavorir un diagnòsticgenètic** i clínicméseficient i ràpid.
- Facilitarun**acompanyament i consell** als afectats i familiars.
- Fomentarun**accés als nous tractaments**orfes i a les teràpiesinnovadores, així com als tractamentscoadjuvantsquenecessitenmoltesd'aquestesmalalties.
- **Simplificar elscircuitsassistencials**garantint una bona connexió entre l'atencióprimària i l'especialitzada.
- **Potenciar la prestació de serveisdomiciliaris** i de rehabilitació física i cognitiva.
- **Fomentar la continuïtat entre elsserveisassistencials**sanitaris, socials i educatius.
- **Desplegar activitatsformatives, informatives i de sensibilització** als professionalssanitaris i socials, a les organitzacions de malalts i al conjunt de la societat, finalment.
- **Potenciar la recerca biomèdica** i social en l'àmbit regional, nacional i europeu.

Més informació:

Iolanda Arbiol
Institutional Relations & Project Manager
PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES
Sant Antoni Maria Claret, 167
08025-Barcelona
Telf: + 34 93 553 76 33
Fax: + 34 93 291 94 27
www.malaltiesminoritaries.uab.cat
Fundació Salut i Envelliment UAB