



# Maladies rares, traitements rares ?

## LE PARCOURS D'UN MÉDICAMENT ORPHELIN

Présentateur :  
Tim Leest  
Président du  
COMP



- Règlement sur les médicaments orphelins
- Le parcours jusqu'à l'approbation
- COMP
- Conditions
- Avantages et obligations
- Volet national

médicament **orphelin**/maladie **orpheline** ...

... Un médicament ou une maladie sans patients !?

... Un médicament sans alternative ?

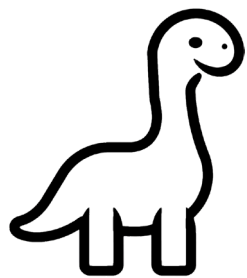
... Un médicament qui doit être vendu sans autorisation ?

... Une maladie qui touche principalement les orphelins ?



# Règlement sur les médicaments orphelins

Après la pluie, le beau temps



Avant 2000

Les traitements et les incitations au développement dans le domaine des maladies rares étaient réglementés au niveau national

= CHAOS



Depuis de 2000

Règlement européen 141/2000 (FR = pionnier)

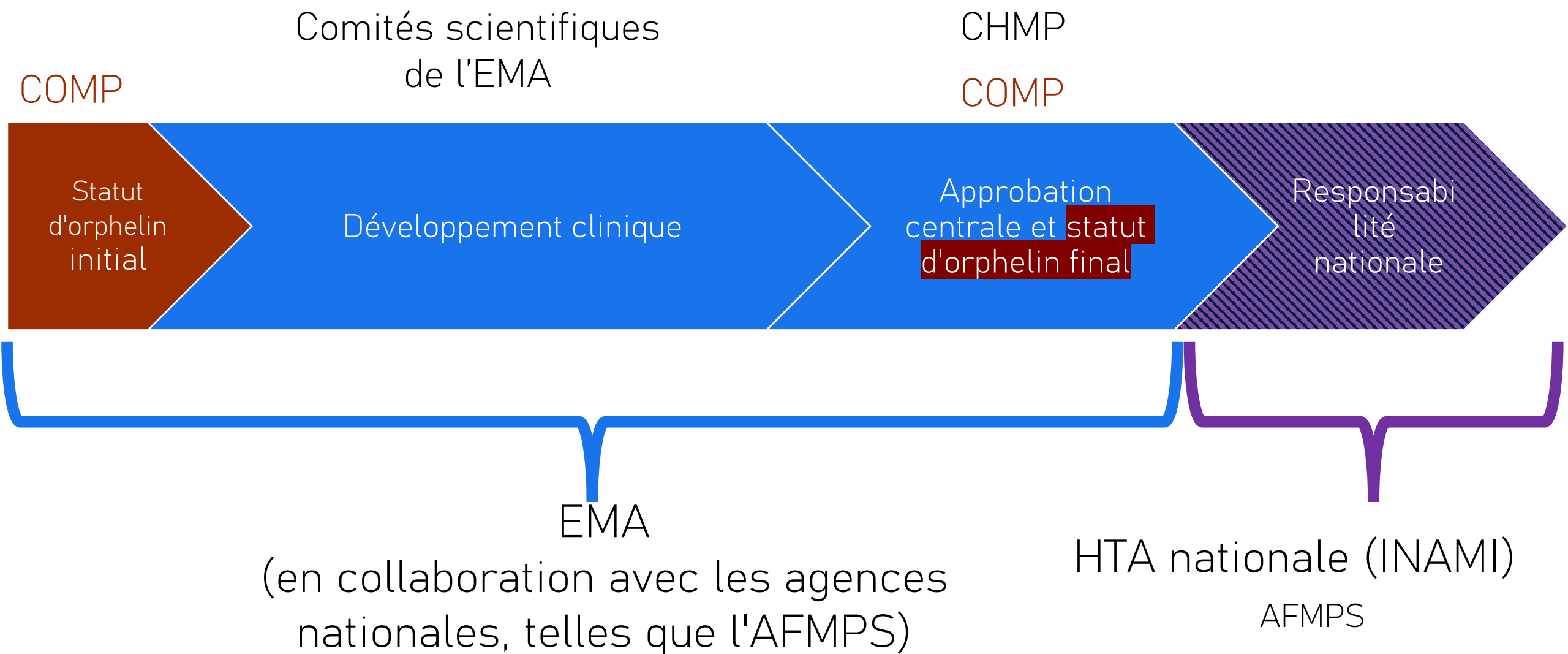
L'incitation au développement et l'approbation sont réglées au niveau central

= allègement



# EN ROUTE VERS UNE APPROBATION

Ça va, ça vient...



## Comités législatifs de l'EMA

COMP (Comité des médicaments orphelins)

PDCO (Comité pédiatrique)

Comités chargés  
d'inciter au développement

*SAWP (Scientific Advice Working Party - Groupe de travail consultatif scientifique)*

CAT (Committee for Advanced Therapies - Comité des thérapies innovantes)

CMPH (Comité des médicaments à usage humain)

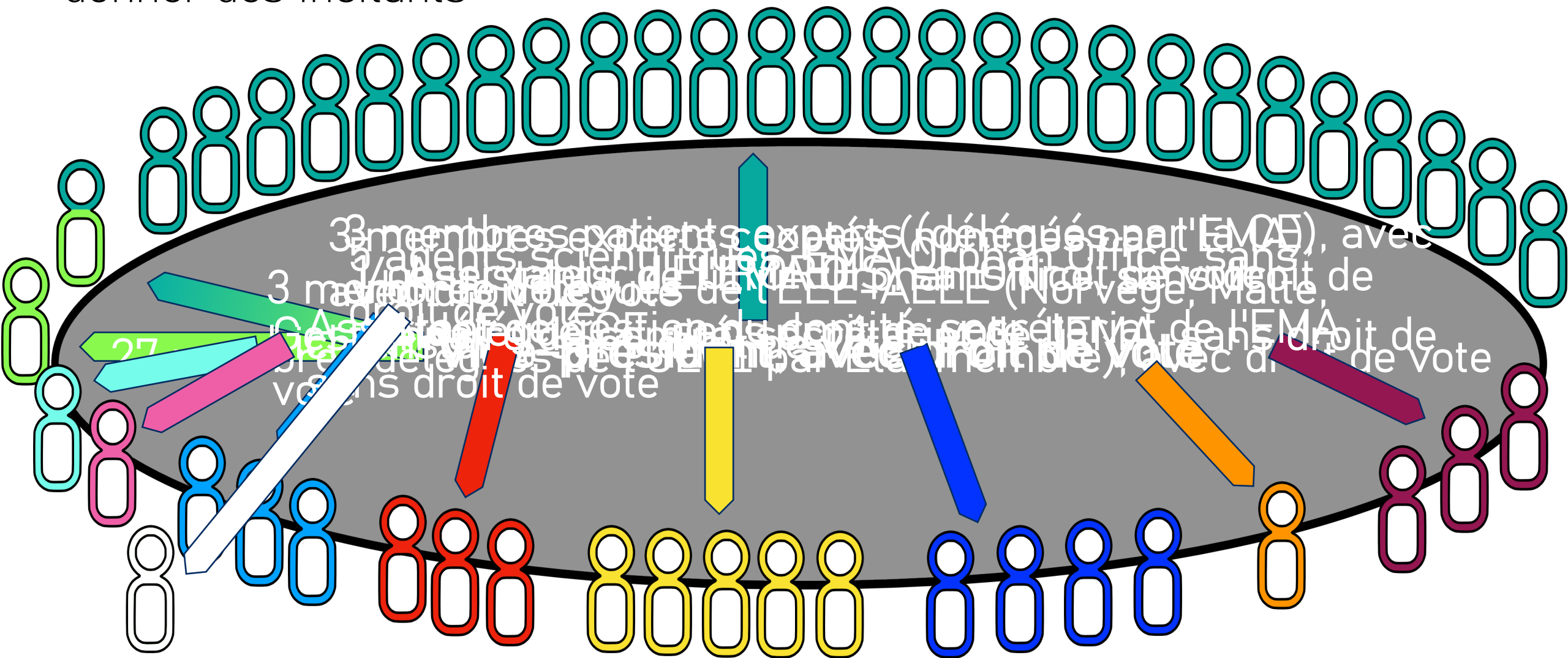
Comités d'autorisation

# COMP (COMITÉ DES MÉDICAMENTS ORPHELINS)

Les gardiens

# COMP

\* 2000 (cf. règlement sur les médicaments orphelins), tâche = donner des incitants



# CONDITIONS

Anatomie d'un médicament orphelin

🔗 Affection mettant en jeu le pronostic vital **ou** maladie débilante chronique

🔗 Rare ( $\leq 5$  sur 10 000 patients dans l'UE à n'importe quel moment)

*OU*

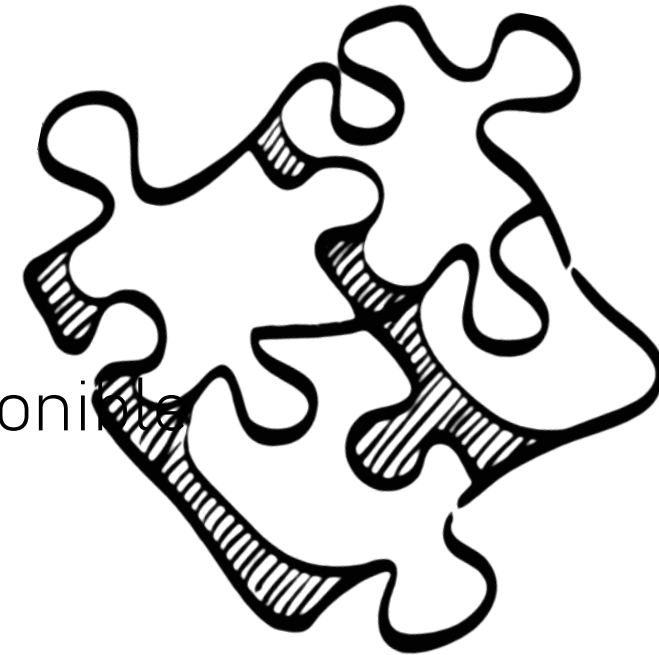
Un « retour sur investissement » insuffisant sans mesures d'incitation

*EN*

🔗 *Aucune méthode de traitement adéquate* n'est disponible

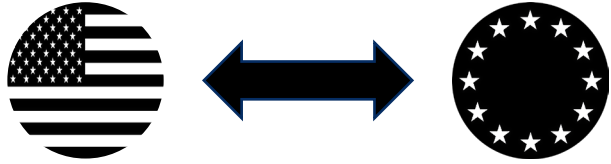
*OU*

🔗 *Avantage significatif* par rapport aux traitements existants



# Avantage significatif

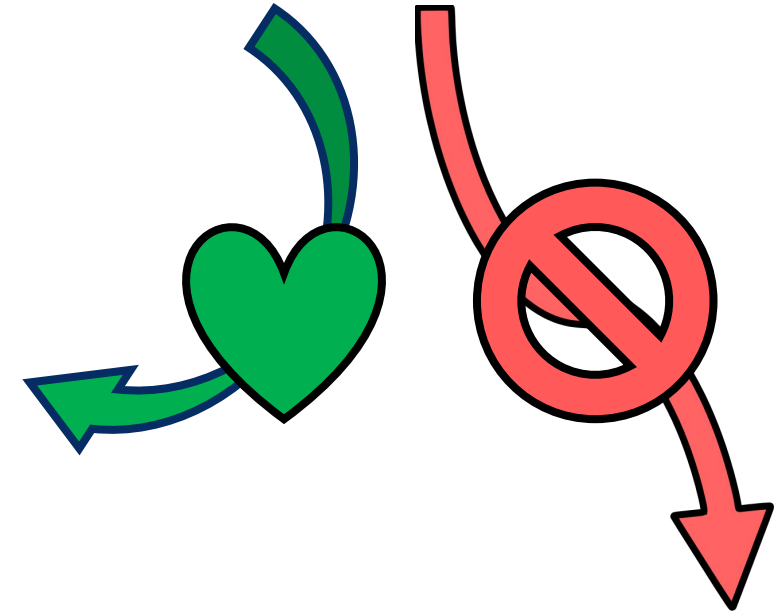
❖ Condition unique pour l'UE



Traitements approuvés

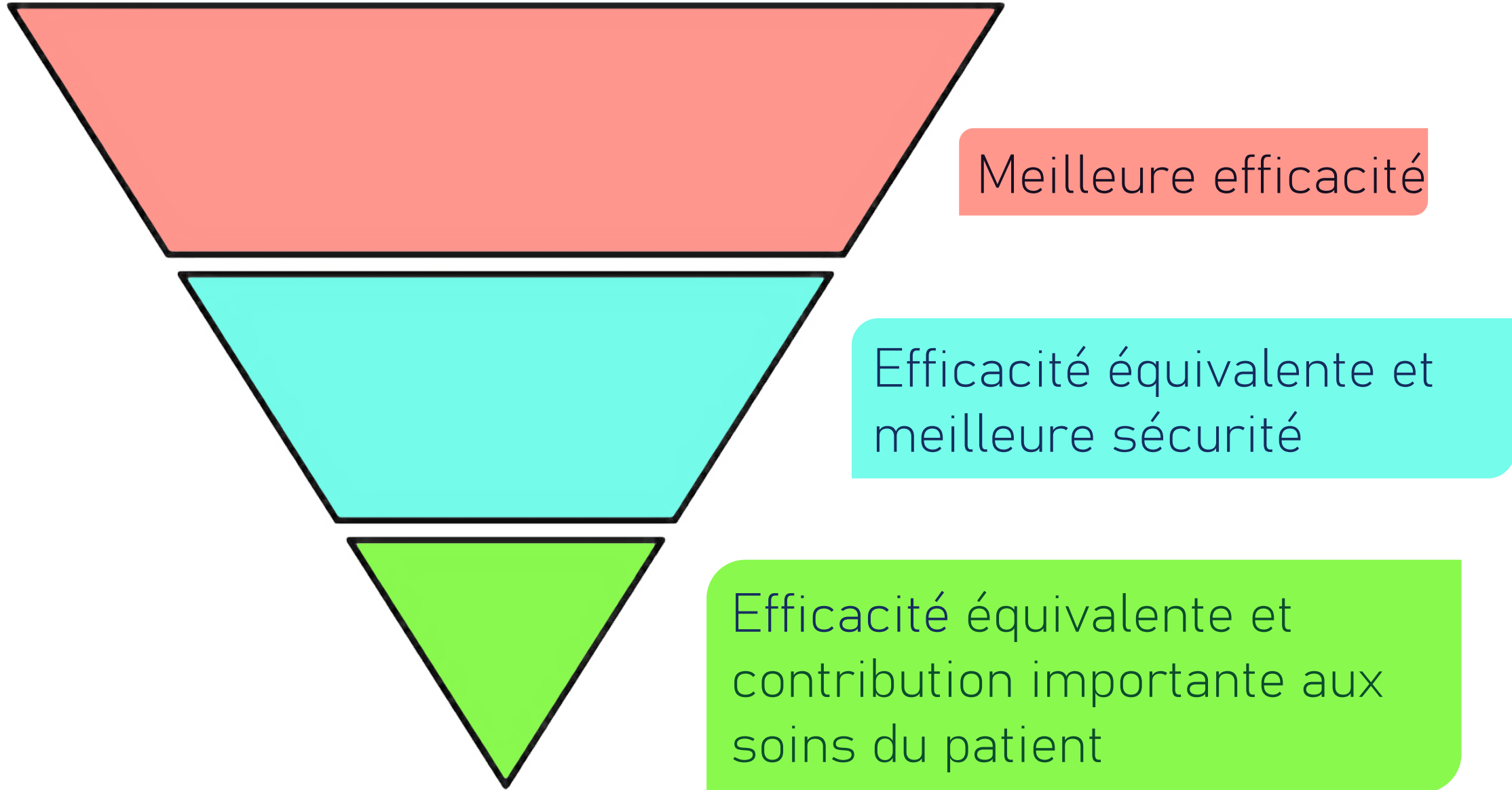
Préparations magistrales

❖ Traitements efficaces existants



Traitements hors RCP

## Avantage significatif (2)



# AVANTAGES ET OBLIGATIONS

De A à Z

## Après une première désignation comme médicament orphelin



Soutien aux PME/universitaires (guide des procédures, etc.)



Réduction des tarifs, e.a. des avis scientifiques, des inspections, etc.



Accès à PRIME & autorisation conditionnelle de mise sur le marché



Demande d'exemption du Plan d'investigation pédiatrique (PIP)



Demande d'autorisation de mise sur le marché par le biais d'une procédure centralisée

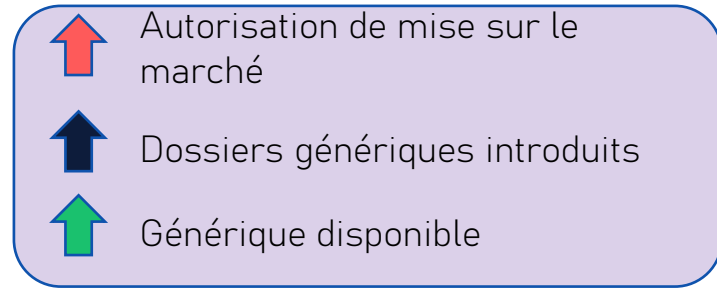


Mises à jour annuelles sur le développement

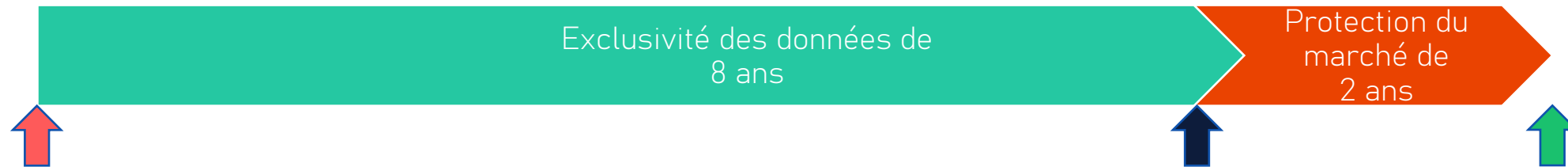
# Incitations après confirmation de la désignation « orphelin »



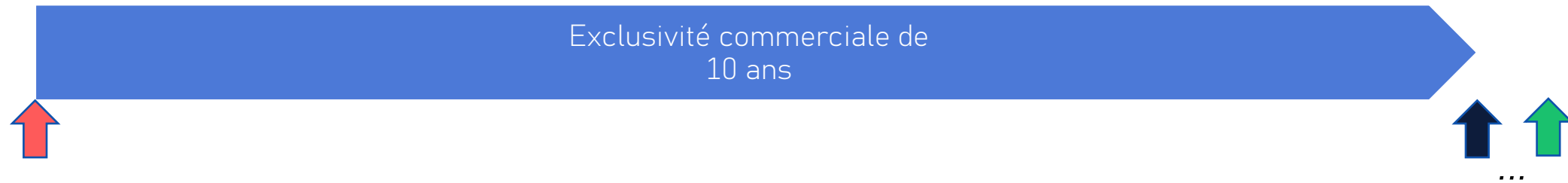
10 ans d'exclusivité commerciale



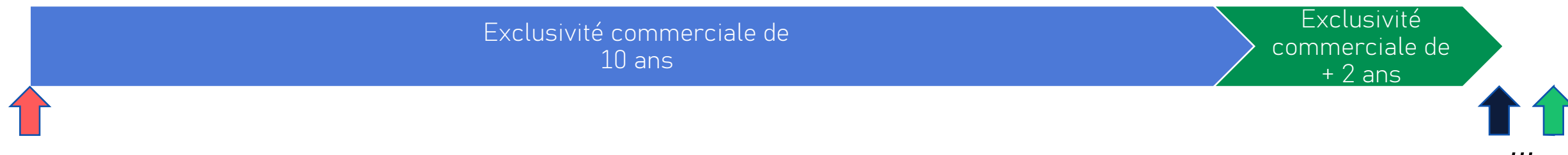
*Autorisation de mise sur le marché ordinaire*



*Statut d'orphelin - exclusivité commerciale*



*Statut d'orphelin - exclusivité commerciale + respect PIP*



# Exclusivité commerciale (1)

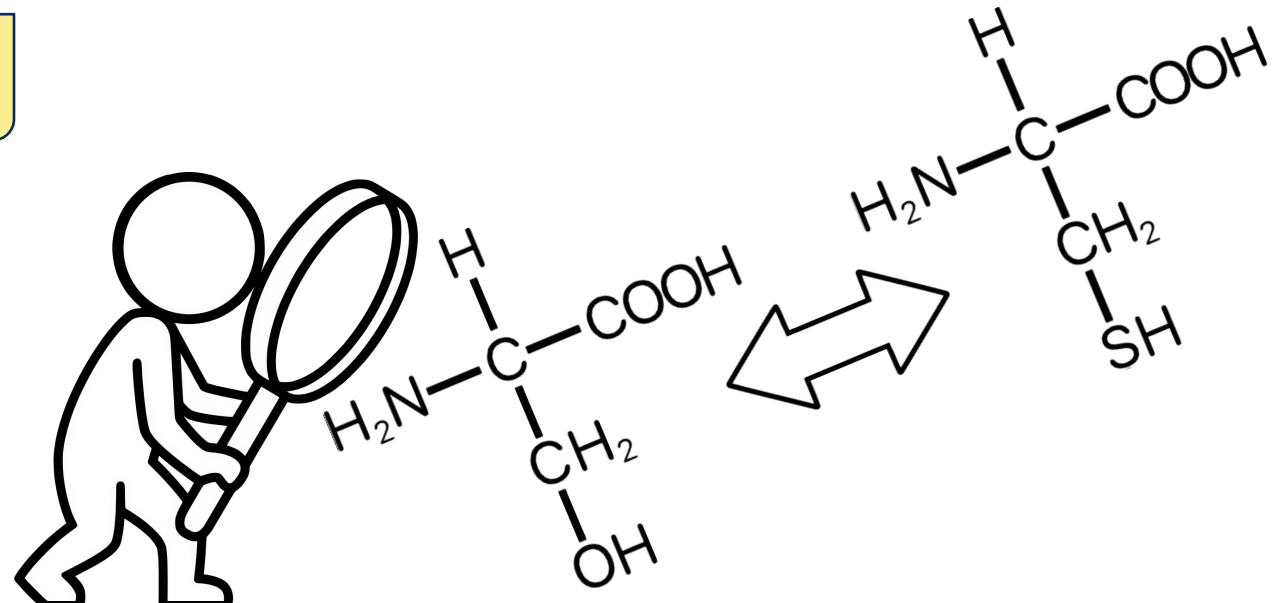


Les produits essentiellement similaires ne peuvent pas soumettre de dossier MVA.

Utilisé pour exactement le même traitement

Structure moléculaire de base identique

Même mécanisme d'action



## Exclusivité commerciale (2)

🌀 Le principe de similarité n'est pas infrangible

- 🔓 Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché donne son accord
- 🔓 Des problèmes de stock qui ne peuvent être résolus dans un délai « raisonnable ».
- 🔓 La supériorité clinique peut être démontrée par rapport au médicament orphelin autorisé (efficacité, sécurité ou contribution substantielle aux soins du patient).

# VOLET NATIONAL

Mais l'histoire ne s'arrête pas là

L'autorisation de mise sur le marché est obtenue au niveau de l'UE

↳ Accessibilité et aspects financiers réglementés au niveau national

↳ Les rôles principaux sont joués ici par l'INAMI, le SPF Santé publique et Sciensano



**Santé publique**  
**Sécurité de la Chaîne alimentaire**  
**Environnement**



sciensano



**INAMI**

# Le rôle de l'AFMPS est plus limité



Programmes d'usage Compassionnel et Programmes Médicaux d'urgence



Avis remis à l'INAMI dans le cadre du programme d'exonération en tant que médicament orphelin



Représentation dans les initiatives nationales



Traduction Orphanet



Registre central des maladies rares



Groupe de pilotage du Plan National Maladies Rares



ERDERA Belgian National Mirror Group Rare Diseases



MERCI DE VOTRE ATTENTION.

