



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Harvinaislääkkeet

Ylilääkäri, LT Karri Penttilä
Sisätautien ja kliinisen hematologian erikoislääkäri
Harvinaislääkekomitean (COMP) jäsen, COMP-SAWP jäsen
Fimea



Harvinaislääkkeet

- Harvinaislääkkeitä koskeva asetus tuli voimaan EU:ssa huhtikuussa 2000 [(Regulation (EC) No. 141/2000)] (arvio toiminnasta menossa)
- Asetuksen mukaisesti Euroopan lääkevirasto (EMA) myöntää hakemuksesta harvinaislääkedesignaatioita (Orphan Drug Designation) valmisteille, joista kehitetään lääkkeitä harvinaissairauksien hoitoon.
- Hakemukset arvioi EMAn harvinaislääkekomitea (COMP, Committee for Orphan Medicinal Products).

Harvinaislääkekomitea

- Harvinaislääkekomiteaan kuuluu puheenjohtaja, varapj, edustaja jokaisesta 27 EU:n jäsenmaasta, **3 potilasjärjestöjen edustajaa**, 3 EMAn (EC) suosittellemaa edustajaa ja yksi edustaja sekä Norjasta että Islannista.
- Lisäksi oleellinen osa toimintaa on EMAn COMPin sihteeristö
- Päätöksiä tehdessä 2/3 äänioikeutetuista jäsenistä pitää olla paikalla (uutena "proxy"-mahdollisuus)
- Kokoukset kerran kuussa Amsterdamissa (?), 3 päivää
- Tarvittaessa pyydetään myös ulkopuolista asiantuntija-apua (esim. jotakin tiettyä sairautta sairastava potilas tai kliininen asiantuntija)

Harvinaislääkkeet

Harvinaislääkedesignaation hakeminen

Hakijan pitää perustella:

- sairauden esiintyvyys (prevalenssi): **< 5/10000/vuosi**.
- että "lääkkeellä" hoidettava sairaus on hengenvaarallinen tai kroonisesti invalidisoiva
- valmisteen käyttökelpoisuus ehdotetussa sairaudessa (käyttöaiheessa)
- jos sairauteen on jo olemassa lääkehoito, on uuden tulokkaan voitava tarjota olennainen parannus hoidon tehoon, siedettävyyteen tai käyttöominaisuuksiin (major contribution to patient care). **Significant benefit**

Hakemukset käsitellään harvinaislääkekomitean kokouksissa.

Harvinaislääkkeet

Miksi harvinaislääkedesignaatiota haetaan?

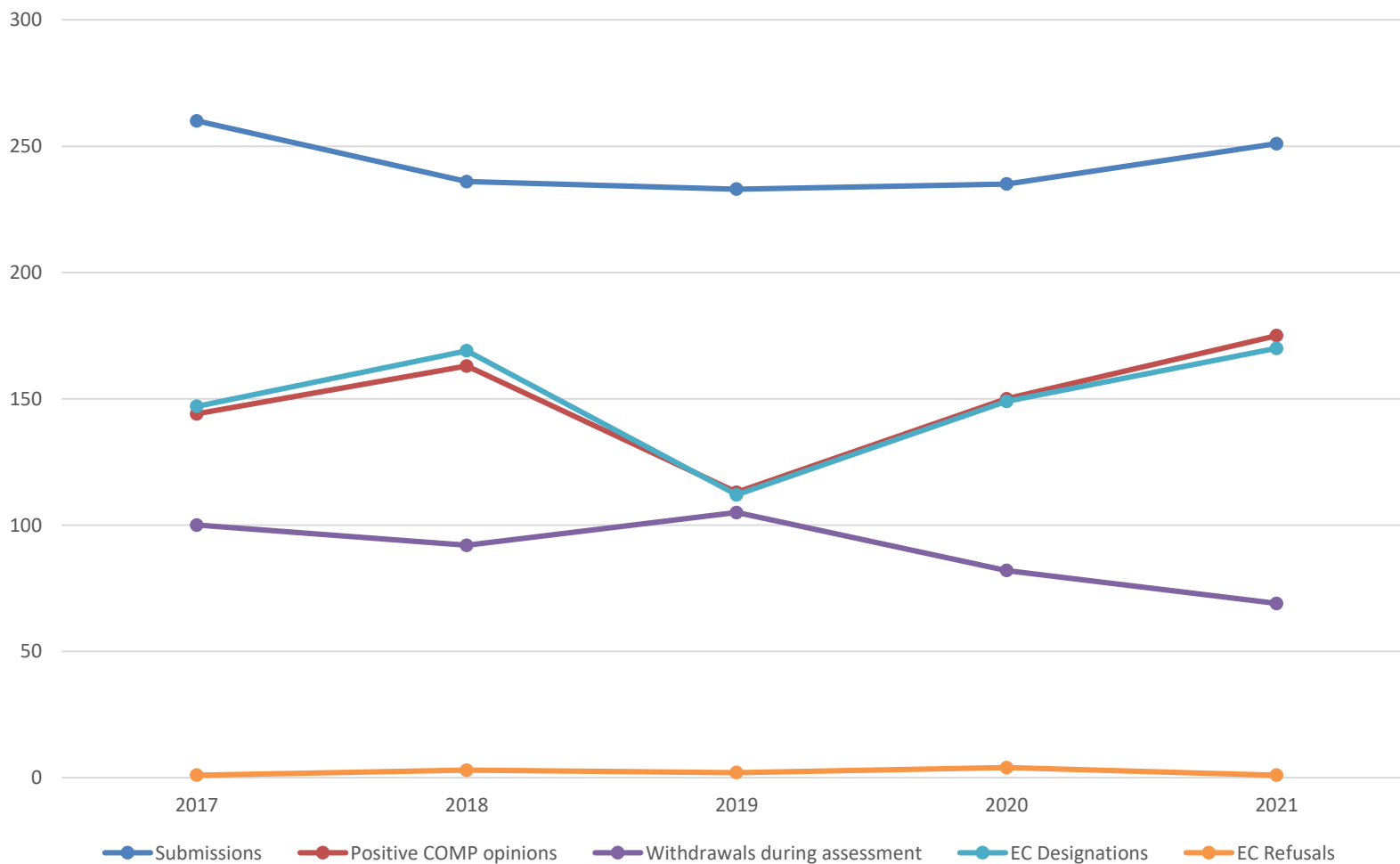
- Pyritään edesauttamaan lääkkeiden kehittelyä:
 - Tarjotaan tieteellistä (**PA, Significant Benefit**) ja hallinnollista neuvontaa
 - Helpotuksia myyntilupa- ja muista lääkevalvonnan maksuista (varsinkin, jos kyseessä **SME**)
- Myyntiluvan myöntämisen jälkeen taataan kymmenen vuotta kestävä suoja rinnakkaisvalmisteiden suhteen kyseisen harvinaissairauden hoidossa (+ 2v. jos kyseessä pediatriinen käyttöaihe)

Lukuja Harvinaislääkehakemuksista

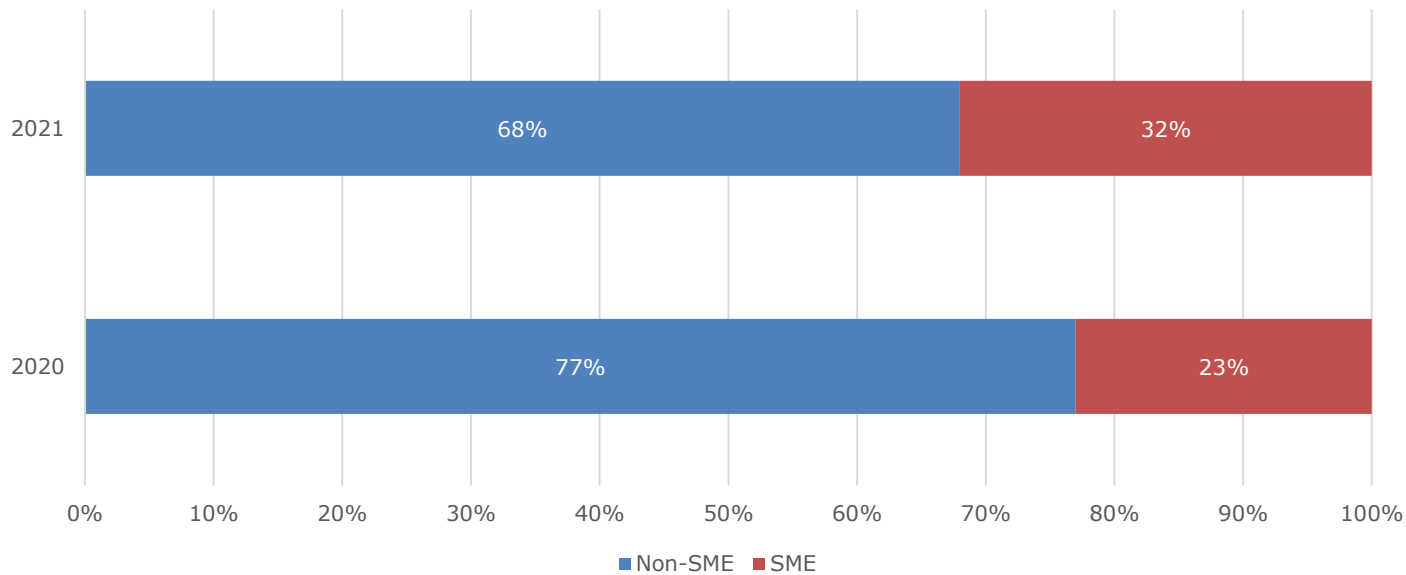
Hakemukset Harvinaislääkkeiksi

	2000 2005	2005 2010	2010 2015	2015 2020	2021	TOTAL
Hakemukset	548	686	1151	1293	251	3929
Positiiset COMPin päätökset	348	500	759	790	175	2572
EC Designaatiot	343	485	768	786	170	2552
EC kielteiset päätökset	8	6	9	12	1	36
Poisvedot submission jälkee	150	144	313	456	69	1132

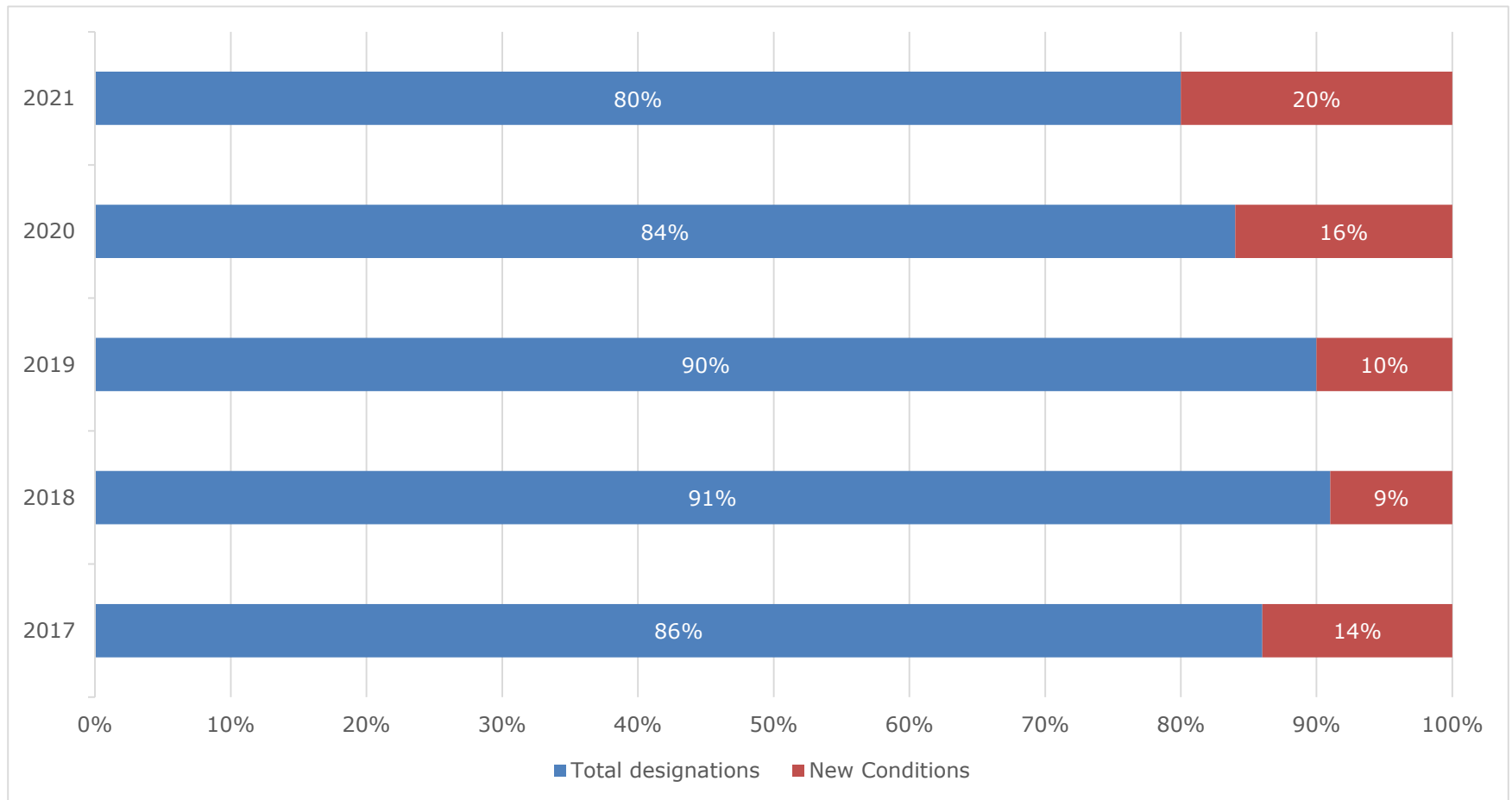
Trendi viime vuosina



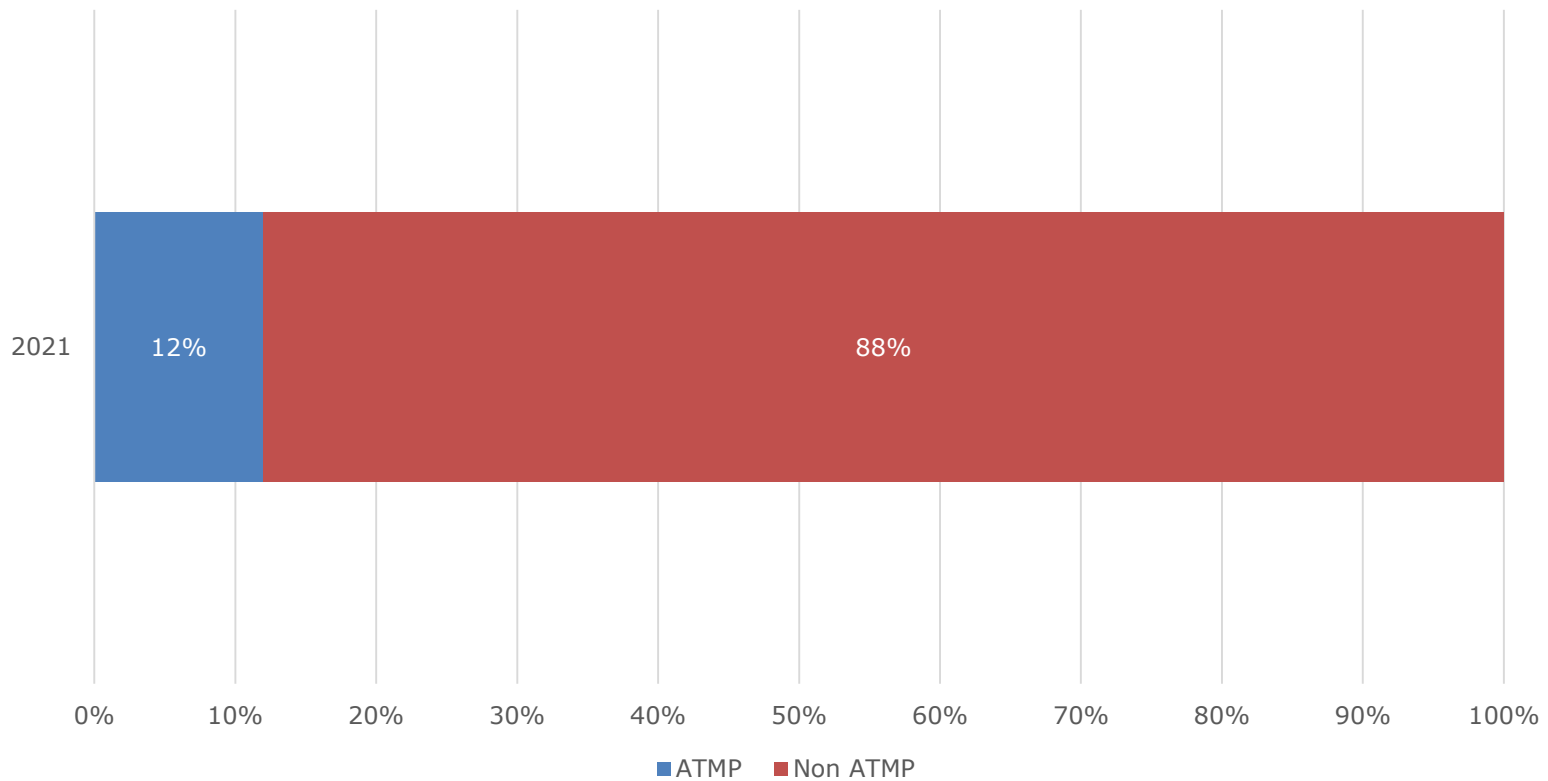
Hakemukset: SME (Small and medium-sized enterprise)



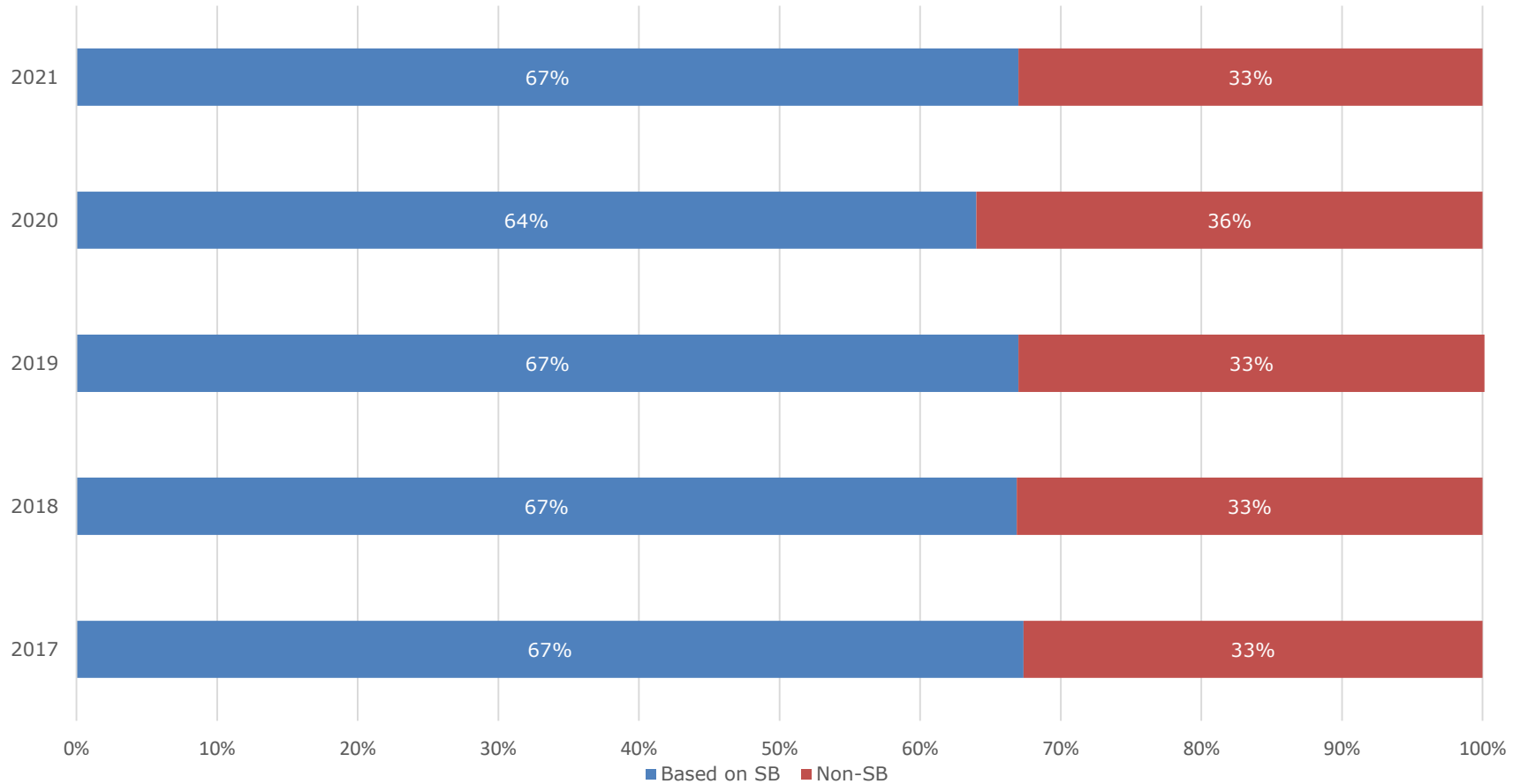
Uudet sairaudet tai tilat vs. designaatiot



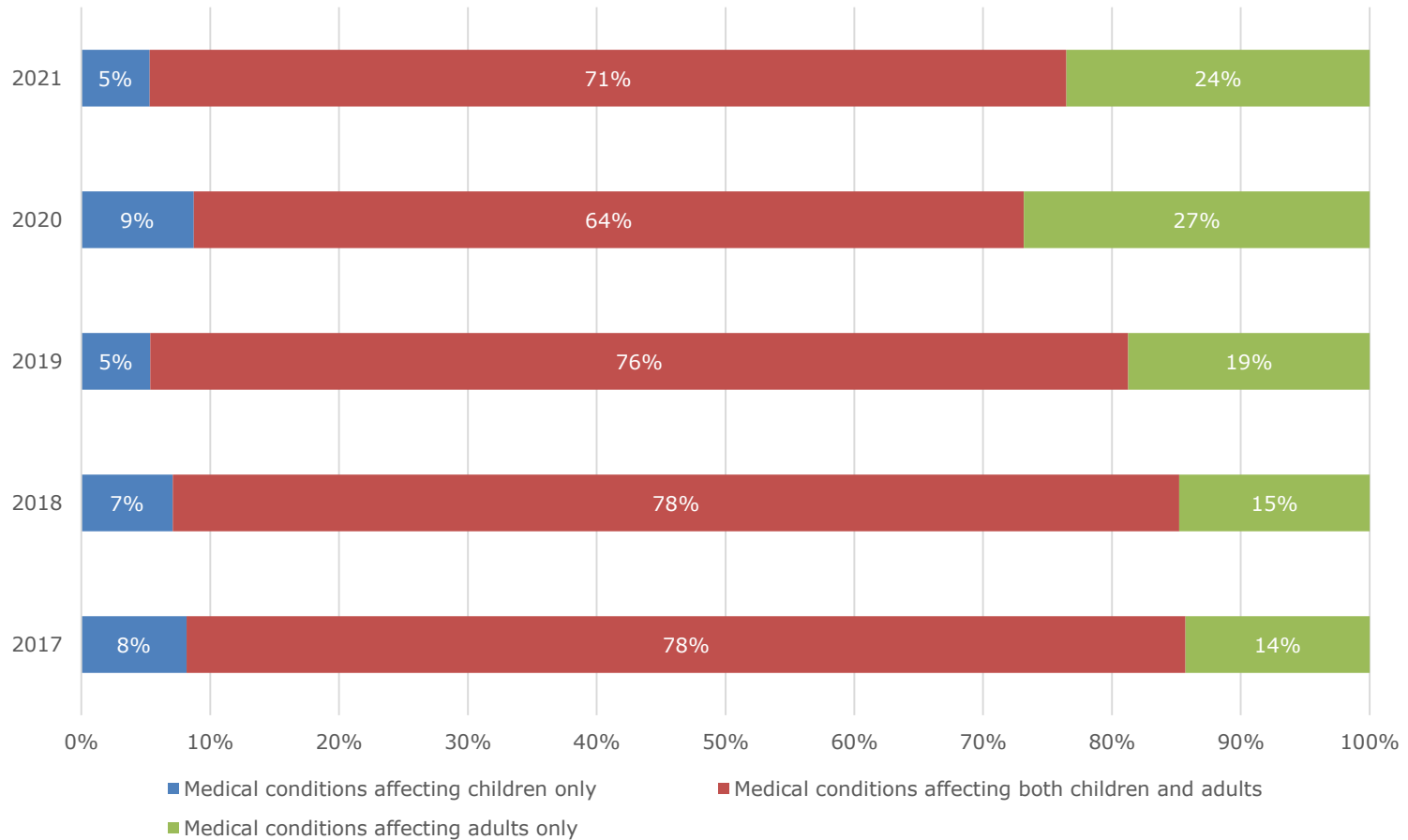
ATMP (advanced therapy medicinal product) - valmisteteet



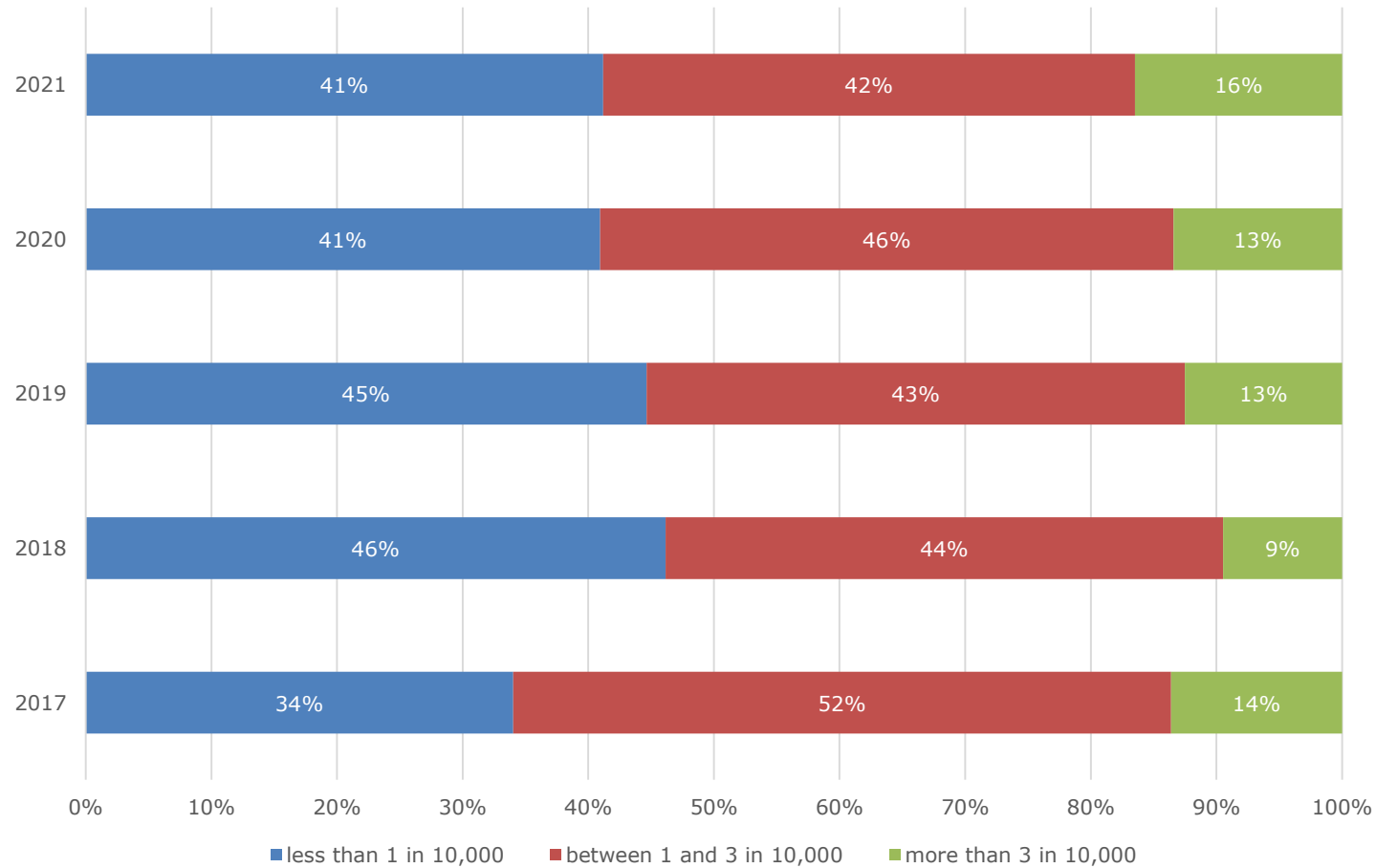
Designaatiot, perusteena "paremmuus" (significant benefit)



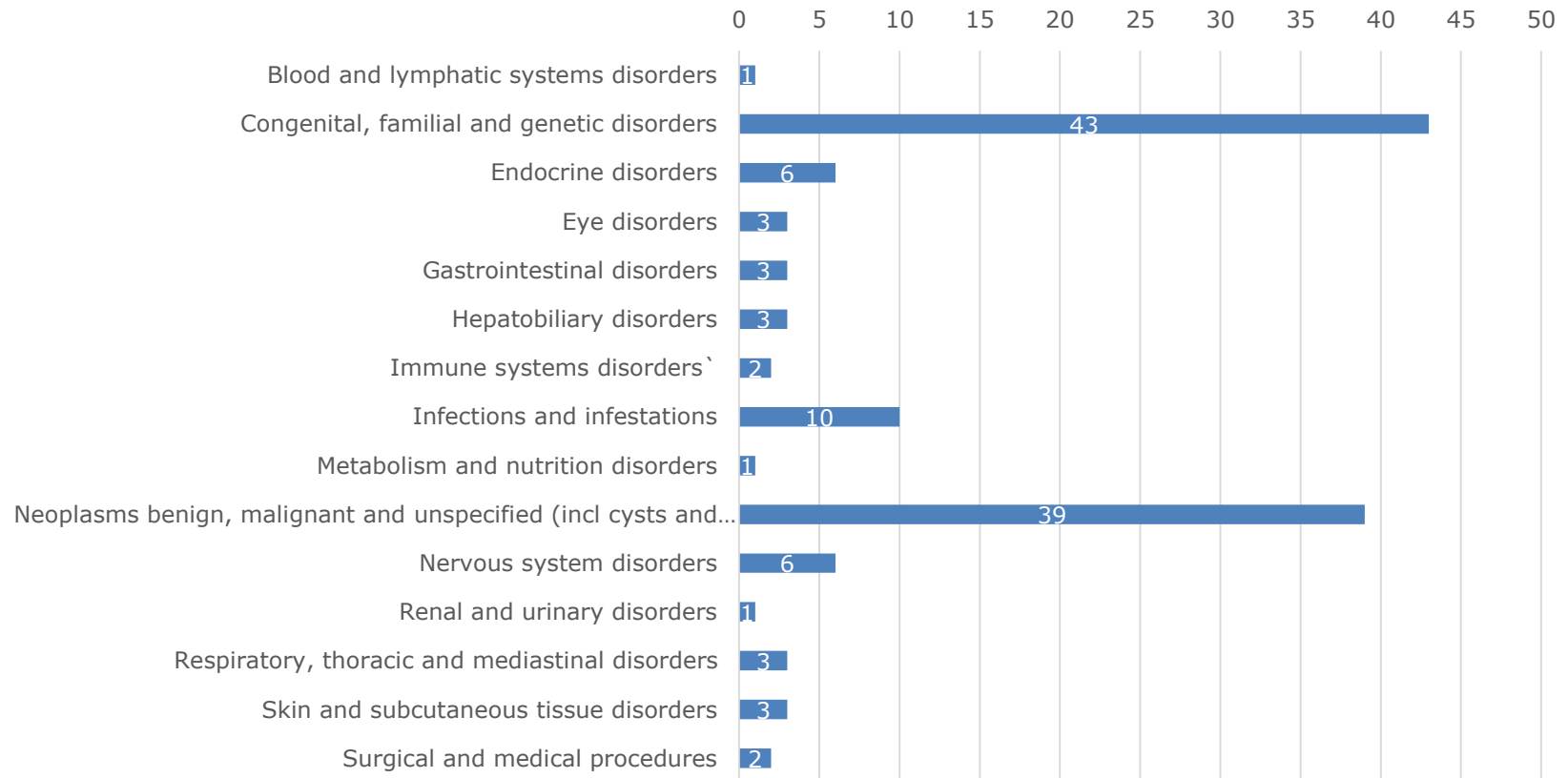
Harvinaislääkedesignaatiot: aikuiset/lapset



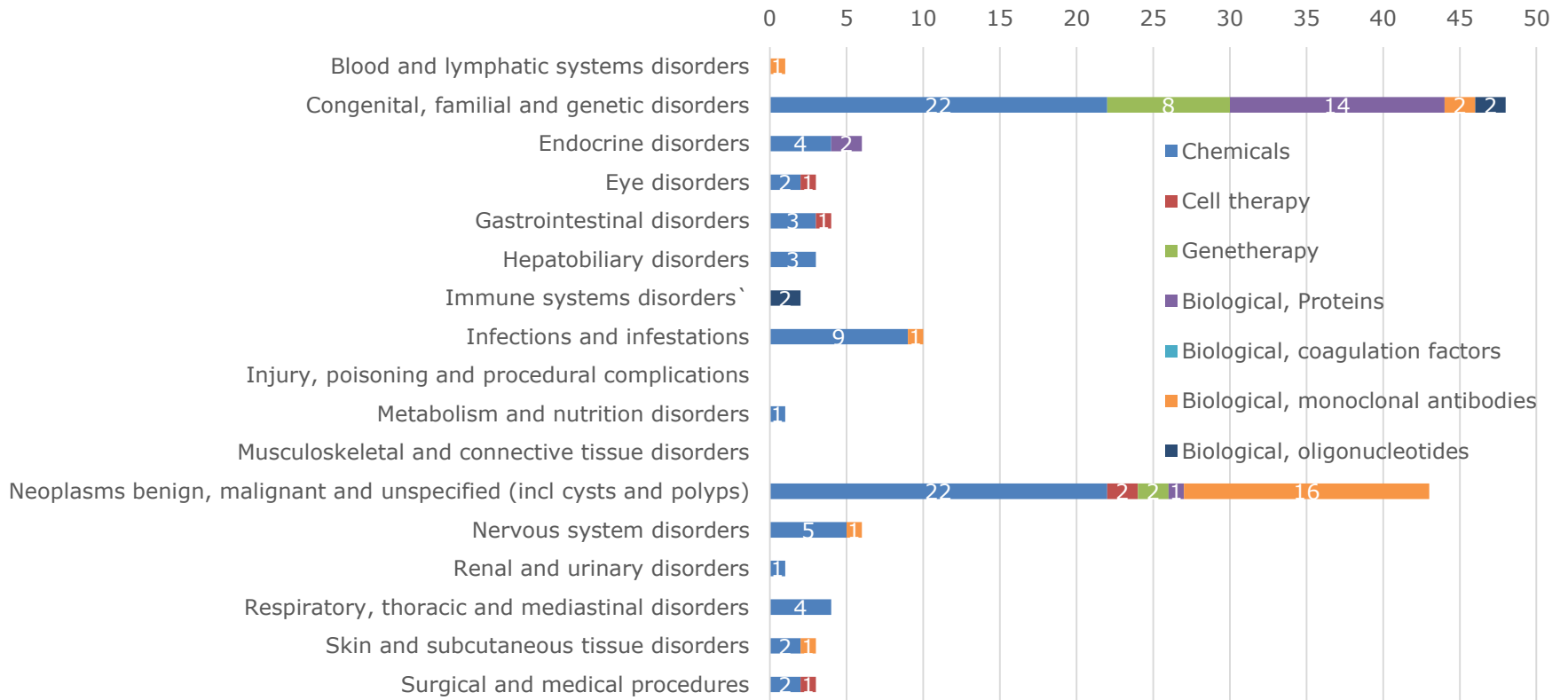
Prevalenssi: designaatiot (sairaudet / tilat)



Aktiiviset myyntiluvat- MedDRA luokitus



Myyntiluvat / valmistetyyppi



204 initial orphan marketing authorisations and 38 extension of indication granted to date

Sairauksien tai tilojen lkm: 144

- 124 active initial authorisations
- 24 active extensions of indication
- 23 withdrawals from the register of orphan medicinal products (including 9 ext. of indication)
- 10 withdrawals from register medicinal products human use/ orphan status expired
- 1 revoked from register medicinal products human use/ orphan status expired
- 55 removals of initial MAA from register after expire of the market exclusivity period plus 5 removals of extensions of indication