

Παράρτημα

Λόγοι για την έκδοση γνώμης σχετικά με τον χαρακτηρισμό φαρμακευτικού προϊόντος ως ορφανού

Ο υποστηρικτής Theraricon Srl υπέβαλλε στις 2 Ιουλίου 2018 στον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων αίτηση χαρακτηρισμού φαρμακευτικού προϊόντος ως ορφανού για φαρμακευτικό προϊόν το οποίο περιέχει διασερεΐνη για τη θεραπεία της πομφολυγώδους επιδερμόλυσης (εφεξής «η πάθηση»). Η αίτηση υποβλήθηκε δυνάμει του άρθρου 3 παράγραφος 1 στοιχείο α) πρώτο εδάφιο του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα.

Η Επιτροπή Ορφανών Φαρμάκων (COMP), αφού εξέτασε την αίτηση, έκρινε ότι ο υποστηρικτής έχει τεκμηριώσει τα ακόλουθα:

- η πρόθεση να αντιμετωπιστεί η πάθηση με το φαρμακευτικό προϊόν που περιέχει διασερεΐνη δεν κρίνεται επαρκώς αιτιολογημένη. Ο χορηγός αναφέρθηκε σε βιβλιογραφικές μελέτες με άλλο σκεύασμα στις οποίες καταγράφεται η μείωση του αριθμού των φλυκταινών στους προσβεβλημένους ασθενείς, ωστόσο δεν παρασχέθηκαν στοιχεία που να δικαιολογούν την παρέκταση των εν λόγω αποτελεσμάτων στο συγκεκριμένο προϊόν που προτείνεται για χαρακτηρισμό. Η COMP έκρινε ότι η παρέκταση από τις αναφερόμενες μελέτες δεν αιτιολογείται επαρκώς και επομένως δεν μπορεί να τεκμηριωθεί ιατρική σκοπιμότητα.
- η πάθηση προκαλεί χρόνια αναπηρία και είναι απειλητική για τη ζωή, καθώς σε περίπτωση τριβής ή τραύματος ή σσωνος σημασίας σχηματίζονται φλύκταινες με συνέπεια πολλαπλές επιπλοκές, μεταξύ άλλων και λοιμώξεις απειλητικές για τη ζωή, καθυστέρηση ανάπτυξης και προδιάθεση για την ανάπτυξη πλακώδους κυτταρικού καρκινώματος.
- Κατά την υποβολή της αίτησης, η πάθηση εκτιμάται ότι έπληττε λιγότερα από 0,9 στα 10.000 άτομα στην Ευρωπαϊκή Ένωση.

Κατά συνέπεια, δεν πληρούνται οι απαιτήσεις (βάσει) του άρθρου 3 παράγραφος 1 στοιχείο α) του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα.

Ο υποστηρικτής διατυπώνει την άποψη ότι για τους ασθενείς που έχουν προσβληθεί από την πάθηση δεν υπάρχει ικανοποιητική μέθοδος θεραπείας η οποία να έχει εγκριθεί στην Ευρωπαϊκή Ένωση.

Επομένως, πληρείται η απαίτηση (βάσει) του άρθρου 3 παράγραφος 1 στοιχείο β) του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα.

Η COMP καταλήγει στο συμπέρασμα ότι δεν πληρούνται οι απαιτήσεις που ορίζονται στο άρθρο 3 παράγραφος 1 στοιχείο α) του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα. Ως εκ τούτου, εισηγείται την απόρριψη του χαρακτηρισμού της διασερεΐνης ως ορφανού φαρμακευτικού προϊόντος για τη θεραπεία της πομφολυγώδους επιδερμόλυσης.