

# Médicaments orphelins

1998/0240(COD) - 16/12/1999 - Acte final

**OBJECTIF** : établir une procédure communautaire de désignation des médicaments orphelins et mettre en place des incitations à la mise sur le marché des tels médicaments grâce à l'octroi d'une exclusivité commerciale de 10 ans. **MESURE DE LA COMMUNAUTÉ** : Règlement 141/2000/CE du Parlement européen et du Conseil concernant les médicaments orphelins. **CONTENU** : Du fait des coûts élevés associés à la recherche et au développement pharmaceutique, l'industrie pharmaceutique est réticente à développer des médicaments pour traiter les maladies rares et d'autres médicaments ayant une faible rentabilité ("médicaments orphelins"). Le but du règlement est donc d'établir une procédure communautaire visant à désigner certains médicaments comme "médicaments orphelins" ou médicaments pour le traitement des maladies rares et d'introduire des incitations à la recherche, au développement et à la commercialisation de ces médicaments, en particulier en délivrant un droit d'exclusivité commerciale de 10 ans sur l'ensemble du territoire communautaire. Un médicament est désigné comme médicament orphelin : - s'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une maladie affectant la vie ou entraînant une invalidité chronique pour au moins 5 personnes sur 10.000 dans la Communauté; ou - s'il est destiné au traitement d'une maladie grave ou invalidante ou chronique et qu'il est peu probable qu'il sera commercialisé en l'absence de mesures d'incitation. Ce médicament doit également apporter un bénéfice notable aux personnes atteintes par l'affection concernée. Un Comité des médicaments orphelins est institué, installé au sein de l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments, et est chargé d'émettre un avis, dans un délai de 90 jours, sur les demandes de désignation des médicaments en tant que médicaments orphelins. La Commission prend une décision dans les 30 jours suivant la réception de ce avis sur ce médicament. Le règlement prévoit la possibilité de recours pour le promoteur du médicament contre l'avis du Comité si ce dernier est négatif. Un promoteur peut également transférer à un autre promoteur la désignation du médicament orphelin moyennant acceptation de l'Agence des médicaments. Le médicament désigné comme médicament orphelin est inscrit au Registre communautaire des médicaments orphelins. Des dispositions sont également prévues en matière de radiation d'un médicament orphelin non conforme ou de fin d'exclusivité commerciale. Des dispositions sont prévues en matière de composition et de fonctionnement du Comité. En ce qui concerne l'autorisation communautaire de mise sur le marché du médicament, celle-ci se fera via la procédure centralisée prévue par le règlement 2309/93/CEE. Le promoteur d'un tel médicament pourra en outre être exempté du paiement de la redevance due à l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments. Lorsqu'une autorisation de mise sur le marché est accordée en application du règlement 2309/93/CEE pour un médicament orphelin, celui-ci bénéficie d'un droit d'exclusivité commerciale d'une durée de 10 ans (ce qui signifie que ni les États membres ni la Communauté ne pourront autoriser la mise sur le marché d'un autre produit basé sur le même principe actif et conçu pour la même indication thérapeutique que le médicament mis sur le marché pendant ce laps de temps). Toutefois, l'exclusivité peut être retirée à la fin de la sixième année, à la demande d'un État membre, si celui-ci peut établir que les conditions ayant permis la désignation ne sont plus réunies ou que le prix demandé pour le médicament en question est excessivement élevé. En outre, l'exclusivité ne fait pas échec à la mise sur le marché d'un second médicament lorsque le titulaire de l'autorisation du médicament orphelin initial a donné son consentement à un second demandeur, ou lorsqu'il n'est pas en mesure de fournir une quantité suffisante dudit médicament ou encore lorsqu'un autre médicament s'avère plus sûr, plus efficace ou cliniquement supérieur à celui qui bénéficie de l'exclusivité. Des dispositions sont prévues en vue d'assister le promoteur du médicament pour le développement d'un protocole ou le suivi des essais cliniques grâce à une assistance appropriée de l'Agence. En outre, la Communauté et les États membres, dans le domaine de leurs compétences propres, peuvent prévoir d'autres incitations qui pourront bénéficier aux médicaments désignés comme orphelins par la Communauté, en particulier des mesures d'aide à la recherche en faveur des PME telles que prévues par les programmes-cadres de recherche et de développement technologique. La Commission dressera un inventaire détaillé de toutes les incitations disponibles sur la base des informations communiquées par les États membres avant le 22.07.2000. Ces informations seront mises à jour régulièrement. Un rapport sur la mise en oeuvre du

présent règlement devra également être publié par la Commission avant le 22.01.2006 et exposant les principaux avantages des mesures prévues au règlement sur le plan de la santé publique. ENTRÉE EN VIGUEUR : 22.01.2000.