

# Procédure file

Informations de base	
COD - Procédure législative ordinaire (ex-procedure codécision) Règlement	1998/0240(COD) Procédure terminée
Médicaments orphelins	
Sujet 4.20.01 Médecine, maladies 4.20.02 Recherche médicale 4.20.04 Produits et industrie pharmaceutiques	

Acteurs principaux			
Parlement européen	Commission au fond	Rapporteur(e)	Date de nomination
	<b>ENVI</b> Environnement, santé publique, politique des consommateurs	PPE-DE <a href="#">GROSSETÊTE Françoise</a>	02/09/1999
	Commission au fond précédente		
	<b>ENVI</b> Environnement, santé publique et protection des consommateurs	UPE <a href="#">CABROL Christian E.A.</a>	22/09/1998
	Commission pour avis précédente		
	<b>BUDG</b> Budgets		
Conseil de l'Union européenne	<b>ENER</b> Recherche, développement technologique et énergie	PPE <a href="#">SCAPAGNINI Umberto</a>	28/10/1998
	<b>DEVE</b> Développement et coopération	PSE <a href="#">ROCARD Michel</a>	28/10/1998
	Formation du Conseil	Réunion	Date
	<a href="#">Agriculture et pêche</a>	<a href="#">2202</a>	27/09/1999
<a href="#">Compétitivité (marché intérieur, industrie, recherche et espace)</a>	<a href="#">2193</a>	21/06/1999	
Santé	<a href="#">1890</a>	30/11/1995	

Evénements clés			
30/11/1995	Adoption de résolution/conclusions par le Conseil		Résumé
27/07/1998	Publication de la proposition législative	COM(1998)0450	Résumé
14/09/1998	Annonce en plénière de la saisine de la commission, 1ère lecture		

18/02/1999	Vote en commission, 1ère lecture		Résumé
18/02/1999	Dépôt du rapport de la commission, 1ère lecture	<a href="#">A4-0078/1999</a>	
09/03/1999	Débat en plénière		
09/03/1999	Décision du Parlement, 1ère lecture	T4-0152/1999	Résumé
15/06/1999	Publication de la proposition législative modifiée	COM(1999)0298	Résumé
27/09/1999	Publication de la position du Conseil	<a href="#">09616/1/1999</a>	Résumé
07/10/1999	Annonce en plénière de la saisine de la commission, 2ème lecture		
25/11/1999	Vote en commission, 2ème lecture		
25/11/1999	Dépôt de la recommandation de la commission, 2ème lecture	<a href="#">A5-0080/1999</a>	
15/12/1999	Décision du Parlement, 2ème lecture	<a href="#">T5-0148/1999</a>	Résumé
16/12/1999	Signature de l'acte final		
16/12/1999	Fin de la procédure au Parlement		
22/01/2000	Publication de l'acte final au Journal officiel		

### Informations techniques

Référence de procédure	1998/0240(COD)
Type de procédure	COD - Procédure législative ordinaire (ex-procedure codécision)
Sous-type de procédure	Législation
Instrument législatif	Règlement
Base juridique	Traité CE (après Amsterdam) EC 095
Etape de la procédure	Procédure terminée
Dossier de la commission parlementaire	ENVI/5/12115

### Portail de documentation

Document de base législatif	<a href="#">COM(1998)0450</a> <a href="#">JO C 276 04.09.1998, p. 0007</a>	27/07/1998	EC	Résumé
Comité économique et social: avis, rapport	<a href="#">CES0064/1999</a> <a href="#">JO C 101 12.04.1999, p. 0037</a>	27/01/1999	ESC	
Rapport déposé de la commission, 1ère lecture/lecture unique	<a href="#">A4-0078/1999</a> <a href="#">JO C 175 21.06.1999, p. 0004</a>	18/02/1999	EP	
Texte adopté du Parlement, 1ère lecture/lecture unique	T4-0152/1999 <a href="#">JO C 175 21.06.1999, p. 0017-0066</a>	09/03/1999	EP	Résumé
Proposition législative modifiée	COM(1999)0298 <a href="#">JO C 177 27.06.2000, p. 0001 E</a>	15/06/1999	EC	Résumé
Position du Conseil	<a href="#">09616/1/1999</a> <a href="#">JO C 317 04.11.1999, p. 0034</a>	27/09/1999	CSL	Résumé
Communication de la Commission sur la position du Conseil	SEC(1999)1538	01/10/1999	EC	Résumé

Recommandation déposée de la commission, 2e lecture	<a href="#">A5-0080/1999</a> <a href="#">JO C 194 11.07.2000, p. 0006</a>	25/11/1999	EP	
Texte adopté du Parlement, 2ème lecture	<a href="#">T5-0148/1999</a> <a href="#">JO C 296 18.10.2000, p. 0035-0091</a>	15/12/1999	EP	Résumé
Document de suivi	<a href="#">SEC(2006)0832</a>	20/06/2006	EC	Résumé
Document de suivi	SWD(2016)0013	26/01/2016	EC	Résumé
Document de suivi	SWD(2020)0163	11/08/2020	EC	
Document de suivi	SWD(2020)0164	11/08/2020	EC	

### Informations complémentaires

Commission européenne

[EUR-Lex](#)

### Acte final

[Règlement 2000/141](#)  
[JO L 018 22.01.2000, p. 0001](#) Résumé

## Médicaments orphelins

vu le traité instituant la Communauté européenne, considérant que le Conseil, dans sa résolution du 30 novembre 1995 relative à l'intégration dans les politiques communautaires des exigences en matière de protection de la santé, considère que la Communauté doit accorder une attention particulière à l'incidence sur la santé des actions proposées dans un certain nombre de domaines, y inclus la libre circulation des marchandises, considérant que des actions destinées à améliorer la compréhension et traiter des incidences sur la santé humaine de la libre circulation des marchandises, et en particulier de la libre circulation des médicaments, doivent faire partie de la stratégie globale d'action de la Communauté dans le domaine de la santé publique, considérant qu'il existe de nombreuses maladies qui affectent un nombre limité de personnes dans les Etats membres et dans la Communauté dans son ensemble, considérant qu'il est nécessaire de faire en sorte que les malades affectés par ces pathologies puissent bénéficier de thérapies, notamment au moyen des médicaments dits "orphelins", répondant aux mêmes critères que l'ensemble des médicaments, considérant que, malgré la survenance relativement faible de ces maladies, les caractéristiques de leur traitement et leurs répercussions particulières sur les plans sanitaire, économique et social, justifient une réflexion dans un cadre européen, considérant que la Commission, dans sa communication du 24 novembre 1993 concernant le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique, identifie les maladies rares comme l'un des huit domaines prioritaires devant faire l'objet d'une action communautaire, considérant que, dans sa décision, du 15 décembre 1994, arrêtant un programme spécifique de recherche, de développement technologique et de démonstration dans le domaine de la biomédecine et de la santé (1994-1998), le Conseil a identifié les maladies rares et les médicaments orphelins comme domaine de recherche spécifique (domaine 4.6), en prévoyant notamment un inventaire des maladies rares, considérant que, dans sa communication du 2 mars 1994 sur les orientations de politique industrielle à appliquer au secteur pharmaceutique dans la Communauté européenne, la Commission évoque les travaux de recherche à entreprendre dans le domaine de la biomédecine et de la santé en ce qui concerne les médicaments orphelins, domaine où la recherche est commercialement peu rentable, considérant l'existence de médicaments déjà commercialisés, d'un faible intérêt commercial, mais qui présentent un grand intérêt pour le traitement de certaines maladies rares, considérant qu'une approche commune à l'échelle européenne à l'égard des maladies rares et des médicaments orphelins offre des avantages sur les plans de l'épidémiologie et de la santé publique, et sur le plan économique, INVITE la Commission à étudier, en étroite coopération avec les Etats membres et à la lumière des orientations indiquées en annexe, la situation des médicaments orphelins en Europe, et à faire, le cas échéant, les propositions appropriées en vue d'améliorer l'accès aux médicaments destinés, notamment, aux personnes atteintes de maladies rares. Annexe Eléments à prendre en compte 1) Définition des termes "médicament orphelin"; 2) Définition des termes "maladie rare", en tenant compte de la prévalence de la maladie concernée; 3) Critères à retenir pour obtenir le statut de "médicaments orphelins" en Europe, en fixant les conditions de leur inclusion dans cette catégorie ou de leur exclusion, en tenant compte des changements intervenus éventuellement dans les conditions qui ont déterminé leur qualification; 4) Mesures d'encouragement, au moyen d'incitations réglementaires (y compris les aspects de propriété intellectuelle) et financières, à la recherche, au développement, à l'autorisation de mise sur le marché et à la distribution des médicaments orphelins; 5) Analyse des effets sanitaires, dans les Etats membres, et des effets économiques, au niveau de l'industrie européenne, d'une politique européenne des médicaments orphelins."?

## Médicaments orphelins

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. CONTENU : la proposition établit les critères harmonisés et une procédure communautaire pour la désignation des médicaments dits "orphelins" ou médicaments pour le traitement des maladies rares. La mise au point de ces médicaments étant souvent très couteuse et les patients peu nombreux, le coût de la recherche, du développement et de la commercialisation est généralement impossible à amortir pour les entreprises pharmaceutiques qui prennent le risque

de développer ces produits. C'est pourquoi, la Commission propose par la présente proposition de règlement: 1) d'ouvrir l'accès au marché communautaire pour ces médicaments grâce à une procédure centralisée de désignation, 2) d'arrêter des mesures d'incitation pour favoriser la recherche, le développement et la mise sur le marché des médicaments orphelins par l'octroi d'un droit de commercialisation exclusif de 10 ans sur l'ensemble du territoire communautaire. -champ d'application : la proposition couvre les médicaments à usage humain (à l'exclusion des médicaments vétérinaires), y compris les vaccins; -critères de désignation : 2 critères sont retenus, d'une part un critère épidémiologique (basé sur une prévalence très faible des affections concernées -5 cas sur 10.000 personnes) et d'autre part, une critère économique (non-rentabilité du médicament). Si par la suite, le médicament se révèle plus rentable que prévu, un Etat membre peut demander le retrait de l'exclusivité commerciale au bout de 6 ans de mise sur la marché; -Comité des médicaments orphelins : l'évaluation des demandes de désignation sera confiée à un comité spécifiquement créé à cet effet au sein de l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments (AEEM), ou Comité des médicaments orphelins. Ce comité est composé de personnalités nommées par les Etats membres pour leur expérience dans le domaine des maladies rares et des représentants des associations de patients; -procédure de désignation : l'instruction de la demande serait assurée par l'AEEM, le Comité des médicaments orphelins ayant 60 jours pour se prononcer sur la désignation du médicament. La décision définitive revient à la Commission qui dispose de 30 jours à cet effet; -autorisation communautaire de mise sur le marché : 2 mesures sont prévues, d'une part, la mise sur le marché via la procédure prévue par le règlement 2309/93/CEE (sans pour autant se conformer à toutes les dispositions de ce règlement), d'autre part, l'exonération totale ou partielle des frais liés à la procédure de reconnaissance par l'AEEM; -exclusivité commerciale : en vertu de cette exclusivité de 10 ans, ni les Etats membres, ni la Communauté ne peuvent autoriser la mise sur le marché d'un autre produit basé sur le même principe actif et conçu pour la même indication thérapeutique (la proposition prévoit toutefois de déroger à ce principe si le titulaire de ce droit n'est pas en mesure de fournir le médicament en quantités suffisantes ou si un autre demandeur parvient à démontrer qu'il a mis au point un produit plus sûr ou plus efficace); -autres incitations : 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 Etats membres, dans le domaine de leurs compétences propres, peuvent prévoir d'autres incitations qui pourront bénéficier aux médicaments désignés comme orphelins par la Communauté. Sur le plan communautaire, ces incitations relèveront de la recherche, alors que sur le plan national, les incitants seront plutôt de nature fiscale afin de stimuler la recherche. La Commission dressera un inventaire détaillé de toutes les incitations disponibles sur la base des informations communiquées par les Etats membres.?

---

## Médicaments orphelins

La recherche et développement pharmaceutique n'ont aucune retombée pour les quelque 5000 maladies qui, n'affectant que relativement peu de personnes, sont considérées comme rares. Seules quelques firmes sont disposées à faire cet investissement et à se plier aux procédures imposées sachant que le produit ne sera fourni qu'à un nombre restreint de patients -d'où leur nom de "médicaments orphelins". La commission a adopté le rapport de M. Christian CABROL (UPE, F) sur une proposition de la Commission concernant un règlement arrêtant une procédure communautaire de désignation des produits médicamenteux orphelins et instaurant des mesures d'incitation portant sur la recherche, le développement et la mise sur le marché. Cette initiative s'inspire de l' "Orphan Drug Act" adopté en 1983 aux États-Unis, qui a rencontré un grand succès. Sur les treize dernières années, 837 produits médicamenteux se sont vus reconnaître le statut de médicament orphelin: ils peuvent bénéficier d'un crédit fiscal à hauteur de 50% des coûts de recherche clinique. Au niveau communautaire, le quatrième programme-cadre de recherche couvre d'ores et déjà la recherche sur les médicaments orphelins. Le but de la proposition est de faire bénéficier les firmes pharmaceutiques concernées de mesures d'incitation prenant la forme, par exemple, d'une procédure accélérée pour obtenir l'autorisation communautaire de mise sur le marché ou la dispense pour le demandeur de payer tout ou partie de la redevance due pour le dépôt du dossier. Serait également prévue une exclusivité commerciale pour dix ans. Des mesures incitatives nationales devraient aussi être permises. Parmi les amendements adoptés par la commission, citons: - une proposition de mettre sur pied un fonds de promotion de l'innovation pour les médicaments orphelins. Ce fonds serait financé par les produits de la vente des médicaments orphelins après expiration de la période d'exclusivité commerciale de dix ans; - un ajout à la définition des "médicaments orphelins" constatant qu'il est peu probable que la commercialisation du médicament orphelin puisse, sans mesures incitatives, générer un bénéfice suffisant pour justifier l'investissement nécessaire.?

---

## Médicaments orphelins

En adoptant le rapport de M. Christian CABROL (UPE, F) sur les médicaments orphelins, le Parlement européen demande que la proposition vise non seulement les médicaments relatifs aux maladies rares mais touche aussi certaines maladies infectieuses qui apparaissent dans les régions tropicales. Il demande aussi qu'un médicament puisse obtenir la désignation de "médicament orphelin" s'il est aussi destiné au traitement d'une maladie invalidante ou d'une maladie grave et chronique. Par ailleurs, il réclame que le comité spécial des médicaments orphelins soit créé sous l'autorité de l'Agence européenne des médicaments. Il insiste sur certains aspects relatifs au fonctionnement dudit comité (notamment, respect du secret professionnel) et demande que certains membres composant ce dernier soient désignés par le Parlement européen et non par la Commission. Il insiste en outre sur certains aspects relatifs aux essais cliniques en prévoyant la possibilité pour l'Agence, d'autoriser, dans des cas exceptionnels, la mise à disposition d'un médicament avant l'autorisation de mise sur le marché, comme prévu dans la proposition. Il demande en outre que le promoteur d'un médicament orphelin fasse rapport annuellement à l'Agence sur l'état de développement du médicament désigné. En cas de transfert de la désignation à un autre promoteur, le Parlement demande que le titulaire de cette désignation adresse à l'Agence une demande spécifique. La Commission adoptera en consultation avec les États membres, l'Agence et les parties intéressées, un guide détaillé concernant la forme sous laquelle les demandes de transfert devront être présentées. Le Parlement demande parallèlement que la contribution annuelle spéciale de la Communauté à l'Agence pour l'évaluation des médicaments soit suffisante pour obtenir l'effet incitatif maximum. Enfin, le Parlement demande la création d'un fonds de promotion de l'innovation des médicaments orphelins administré par l'Agence. Ce fonds serait créé grâce au produit de la vente de médicaments orphelins à partir de l'échéance du délai de 10 ans d'exclusivité commerciale. Il serait réglementé par la Commission et les recettes obtenues seraient utilisées sur le modèle des postes budgétaires couvrant les programmes de recherche de l'Union.?

---

## Médicaments orphelins

Dans sa proposition modifiée, la Commission a repris une majorité d'amendements approuvés par le Parlement en première lecture. Il s'agit en

particulier des amendements qui visent à : - intégrer dans la proposition les médicaments relatifs aux maladies graves et chroniques, - prévoir que le promoteur d'un médicament orphelin fasse rapport annuellement à l'Agence sur l'état de développement du médicament désigné et qu'en cas de transfert de la désignation à un autre promoteur, le titulaire de cette désignation adresse à l'Agence une demande spécifique, - maintenir les droits de désignation d'un promoteur à un autre en cas de transfert de désignation, - prévoir la possibilité d'introduire une demande de désignation à tout stade du développement du médicament avant le dépôt d'une demande d'autorisation de mise sur le marché, - supprimer les notions de "médicament similaire" et de "supériorité clinique" et prévoir que de telles définitions soient fixées par voie réglementaire, - modifier la notion de "promoteur" pour couvrir non seulement les personnes qui cherchent à obtenir la désignation d'un médicament orphelin mais aussi celles qui l'ont obtenue, - prévoir clairement que le Comité des médicaments orphelins (CMO) fasse partie de l'Agence européenne des médicaments, - prévoir le recours éventuel à l'avis d'experts extérieurs au sein du CMO en cas de besoin, - garantir le maintien du secret professionnel au sein du CMO, - insister sur la protection du droit de propriété intellectuelle dans le cadre de la désignation des médicaments, - prévoir que les médicaments orphelins bénéficient d'aides à la recherche dans le cadre du 6ème programme-cadre de recherche et développement technologique. En revanche, la Commission n'a pas retenu les amendements qui visaient à octroyer au Parlement européen le droit de choisir les membres composant le CMO ainsi que celui qui visait à renforcer la contribution financière de l'Agence pour l'évaluation des médicaments dans le cadre de ses nouvelles tâches. La Commission n'a pas non plus retenu l'idée de la création d'un fonds de promotion de l'innovation des médicaments orphelins administré par l'Agence et créé à partir du produit de la vente de médicaments orphelins. Parallèlement, la Commission a également apporté des modifications suite aux discussions intervenues entre les délégations au sein du Conseil et portant principalement sur la comitologie. Il est ainsi prévu qu'en cas de désaccord sur la désignation d'un médicament au sein du CMO, les avis devaient être adoptés à la majorité des 2/3 et que le délai imparti pour la formulation d'un avis devait être porté de 60 à 90 jours.?

---

## Médicaments orphelins

La position commune du Conseil relative à la proposition de directive sur les médicaments orphelins est conforme, dans les grandes lignes, au texte de la proposition modifiée de la Commission. Ainsi, le Conseil a fait siens une majorité d'amendements approuvés par le Parlement européen en première lecture, en particulier ceux qui portaient sur : - certains critères de désignation des médicaments orphelins notamment le fait que ces médicaments puissent prévenir ou guérir des maladies graves et chroniques et pas seulement des maladies dites "rares"; - la fourniture de rapports annuels par les promoteurs de médicaments sur le développement des médicaments désignés, - la possibilité de transfert de la désignation de médicament orphelin d'une société à une autre, - la suppression des notions de "médicament similaire" et de "supériorité clinique" qui devraient faire l'objet d'un règlement d'application spécifique par la Commission, - le fait que le Comité des médicaments orphelins (CMO) fasse partie de l'Agence européenne des médicaments, - le maintien du secret professionnel par les membres du CMO même après la cessation de leurs fonctions, - la protection du droit de propriété intellectuelle dont doivent bénéficier les médicaments désignés. Parallèlement, le Conseil a apporté quelques innovations majeures à son texte portant sur les points suivants : 1) critères de désignation d'un médicament orphelin : le Conseil estime que les mêmes préalables fondamentaux doivent s'appliquer pour les critères épidémiologiques et les critères économiques : il doit s'agir d'une affection grave, et si un traitement existe déjà, le médicament devra procurer un bénéfice notable aux personnes souffrant de cette affection. Par ailleurs, le Conseil estime que les critères retenus pour définir une maladie rare doivent être identiques à ceux mentionnés dans la décision 1295/1999/CE sur les maladies rares; 2) Comité des médicaments orphelins : étant donné que ce Comité devra être composé de représentants des associations de patients et de représentants assurant la liaison avec des spécialités pharmaceutiques, le Conseil estime que les avis portant sur la désignation des médicaments devraient être adoptés à la majorité des 2/3; 3) procédure de désignation et de radiation du registre : le délai de désignation devrait être porté à 60 à 90 jours en vue de tenir compte de l'organisation des réunions du Comité. Le Conseil estime, par ailleurs, qu'il y a lieu de mettre en place un système de radiation du registre communautaire des médicaments orphelins lorsqu'un médicament désigné n'atteint pas son potentiel de développement ou lorsque les critères de désignation ont été modifiés entre le moment de la désignation du médicament et celui de l'autorisation de mise sur le marché.?

---

## Médicaments orphelins

La Commission se dit globalement satisfaite de la plupart des modifications apportées par le Conseil concernant les critères de désignation établis par ce dernier dans sa position commune (laquelle a recueilli la position unanime des délégations). Cependant, elle considère que le texte de la position commune est plus restrictif que celui de sa proposition modifiée. Elle déplore en particulier le fait que certaines affections rares, qui entrent difficilement dans la catégorie des maladies "mettant la vie en danger" ou "gravement invalidantes", risquent d'être exclues du champ d'application du règlement. Par ailleurs, bien que reconnaissant le besoin de cohérence entre les différentes politiques de la Communauté, la Commission considère comme restrictive la référence à la prévalence et à la gravité de l'affection telle qu'elle figure dans la décision 1295/1999/CE portant sur le programme d'action communautaire sur les maladies rares, alors que le règlement prévoit des critères spécifiques en la matière.?

---

## Médicaments orphelins

En adoptant la recommandation pour la deuxième lecture de Mme Françoise GROSSETÊTE (PPE-DE, F), le Parlement européen approuve telle quelle la position commune du Conseil.?

---

## Médicaments orphelins

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. ?

## Médicaments orphelins

---

Ce document de travail de la Commission transcrit l'expérience acquise suite à l'application du règlement 141/2000/CE sur les médicaments orphelins ainsi que les bénéfices obtenus en matière de santé publique.

Les médicaments orphelins sont destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement des maladies graves (représentant un danger pour la vie) ou très rares.

Le rapport stipule que la réponse à la législation sur les médicaments orphelins dans l'UE a, de loin, dépassé les attentes initiales : plus de 450 requêtes ont été soumises entre avril 2000 et avril 2005. Parmi celles-ci, plus de 260 ont été désignées et deux sont en cours d'obtention d'une autorisation de mise sur le marché.

Bien que plus de cinq ans d'expérience de ce règlement aient été maintenant acquis, l'impact réel de l'initiative sur les médicaments orphelins sur la santé publique ne pourra être progressivement révélé qu'à la faveur d'une expérience à plus long terme.

Il y a déjà plus d'un million de patients souffrant de maladies orphelines dans la Communauté qui peuvent potentiellement profiter de 22 nouveaux médicaments orphelins autorisés au cours des 5 premières années d'application du règlement 141/2000/CE. En outre, il y a des éléments qui permettent de supposer que la législation a stimulé l'activité industrielle menant à la création de sociétés disposant d'un haut potentiel technologique.

Les bénéfices complets des règlements de l'UE sur les médicaments orphelins exigent des synergies optimales entre l'action de la Communauté et celle des États membres. Les incitations au niveau de l'Union européenne doivent se traduire par un accès rapide pour les patients aux nouveaux produits dans l'ensemble de la Communauté et elles doivent être complétées par des incitations au niveau des États membres. À cet égard, l'expérience passée n'était pas entièrement satisfaisante.

## Médicaments orphelins

---

Ce document de travail des services de la Commission concerne le quatrième inventaire portant sur les incitations de l'Union et des États membres en vue de promouvoir la recherche, le développement et la disponibilité des médicaments orphelins - état d'avancement à 2015.

Cette année a marqué le 15e anniversaire du [règlement concernant les médicaments orphelins](#). À ce jour, des progrès impressionnants ont été enregistrés, en particulier du point de vue de l'activité de l'industrie pharmaceutique dans ce domaine.

Après 15 ans de mise en œuvre et des avancées significatives pour les patients, la Commission souhaite faire le point sur les progrès réalisés. Ce document représente la quatrième version de l'inventaire.

Principales conclusions: la Commission a lancé une enquête en vue de recueillir des informations sur les mesures nationales visant à favoriser la recherche, le développement et la disponibilité de médicaments orphelins. L'information recueillie se fonde sur les données fournies par les États membres et validées par les autorités nationales compétentes en décembre 2015. La Commission ne peut garantir leur exactitude ou leur exhaustivité.

Soutien à la R & D: parmi les mesures introduites dans certains États membres, il faut noter des frais réduits en ce qui concerne l'enregistrement et les essais cliniques, des possibilités de réductions ou de dérogations fiscales, des financements de projets de recherche sur fonds publics ainsi que la fourniture de conseils scientifiques gratuits aux promoteurs de médicaments.

Le document montre qu'en France, les promoteurs de médicaments sont exemptés de certaines taxes à payer par les entreprises pharmaceutiques. Aux Pays-Bas, les frais d'enregistrement peuvent être supprimés si le médicament est déjà enregistré dans un ou plusieurs États membres et si la prévalence de la maladie est inférieure à 1/150.000 cas. D'un autre côté, en Pologne et au Royaume-Uni, il n'existe pas de mesures spécifiques pour les médicaments orphelins.

Disponibilité des médicaments pour les patients: en ce qui concerne les mesures visant à accroître la disponibilité pour les patients, de nombreux États membres ont confirmé qu'ils mettaient en œuvre des «programmes d'usage compassionnel» permettant d'avoir accès à certains médicaments avant qu'ils aient obtenu l'autorisation complète de mise sur le marché. Ces programmes sont utilisés pour les patients individuels («programmes pour les patients») sur la base de la déclaration d'un médecin ou d'une entreprise pouvant ainsi rendre les produits disponibles pour un groupe de patients.

Remboursement du produit: le coût du produit peut ou ne peut pas être remboursé, en fonction de l'État membre. En Grèce par exemple, les médicaments orphelins couverts par un programme d'usage compassionnel pour les patients sont remboursés en totalité. En Allemagne, tous les médicaments sont remboursés directement après autorisation de commercialisation.

L'impact du remboursement sur la disponibilité des médicaments orphelins pourrait être un sujet de préoccupation dans l'UE. On s'attend en effet à une augmentation de l'impact budgétaire des médicaments orphelins au cours des prochaines années, en raison des produits nouvellement autorisés. Dans ce contexte, il est important de souligner le fait que certains États membres ont adopté des mesures spécifiques pour le remboursement des médicaments.

Autres mesures: la plupart des États membres ont fait état d'autres mesures qu'ils ont prises dans le cadre de plans nationaux sur les maladies rares qui couvrent non seulement les médicaments orphelins, mais aussi la prévention (par exemple le diagnostic pré-natal) et la détection des maladies rares, l'échange d'informations et la coopération avec les organisations de patients. Dans ce contexte, la plupart d'entre eux ont confirmé les progrès réalisés dans la mise en place de la base de données Orphanet et des centres experts pour les maladies rares et qu'ils disposaient de registres de patients atteints de maladies particulières.