

# OrphanDev

Plateforme labellisée F-CRIN

## OrphanDoc: La désignation médicament orphelin



La désignation médicament orphelin vise à conférer un statut d'orphelin à des médicaments utilisés pour le diagnostic, la prévention ou le traitement d'une maladie entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de 5 personnes pour 10 000 dans la communauté Européenne.

Elle est accordée par une instance réglementaire: l'Agence Européenne du Médicament (European Medicines Agency ou EMA) en Europe ; la Food and Drug Administration (FDA) aux Etats-Unis ; le Ministère de la santé, du travail et des affaires sociales au Japon ; la Therapeutic Good Administration en Australie.

La désignation médicament orphelin permet de bénéficier de mesures d'incitations spécifiques au développement de nouveaux médicaments pour les maladies rares. L'obtention d'une désignation médicament orphelin ne garantit pas l'obtention d'une l'autorisation de mise sur le marché (AMM), mais en optimise les chances.

OrphanDev est une plateforme académique au cœur des maladies rares, proche des équipes de recherche, des cliniciens, des industriels et des patients. Elle propose une expertise scientifique, réglementaire et méthodologique spécifique au développement de médicaments dans les maladies rares. OrphanDev accompagne ses partenaires notamment dans les demandes de désignation médicament orphelin, le recrutement des patients dans les essais cliniques et les projets européens. Cet ensemble de services et d'outils permet l'accélération du développement de thérapeutiques maladies rares.

### OrphanDev - Plateforme F-CRIN

PIICI - INT

Secteur de Pharmacologie Intégrée et Interface Clinique et Industrielle  
Institut de Neurosciences de la Timone (Aix Marseille Université & UMR7289 CNRS)

27 Bd Jean Moulin  
13005 Marseille  
Tel: 04 91 32 41 62

contacts@orphan-dev.org

[www.orphan-dev.org](http://www.orphan-dev.org)

### Notre équipe:

Pr Olivier Blin, coordonnateur  
Marine Berro, chef de projet  
Cécile Colombar, Chef de Projet



## ●● Les bénéfiques

Désignation

Le *protocol assistance*. L'EMA et la FDA peuvent fournir un avis scientifique de manière à guider le demandeur dans ses choix lors du développement de son médicament, afin de répondre aux exigences réglementaires européennes et de préparer son dossier de demande d'AMM. Cette assistance augmente les chances de succès de la future demande d'AMM.

Des réductions de charges, qui concernent tout type d'action centralisée (demande d'AMM, inspections pré-AMM, demande d'assistance protocolaire, charges annuelles...). Des réductions supplémentaires sont applicables pour les petites et moyennes entreprises (PME). Par exemple lorsque une ODD a été obtenue, les réductions de frais du *protocol assistance* sont de 75%\* et de 100%\* pour les PME. Les promoteurs sont exemptés à 50%\* de la redevance sur les demandes d'AMM, à 100%\* pour les PME.

\* Les pourcentages sont variables selon les années.

Financement de la recherche, via un accès à des appels à projets dédiés aux maladies rares et restreints aux porteurs d'une désignation (programme Européen pour la recherche et l'innovation).

AMM

Une procédure accélérée de demande d'AMM. Sur demande du promoteur et sous certaines conditions, la procédure d'évaluation du dossier de demande d'AMM par l'EMA peut être accélérée (150 jours au lieu de 210 jours).

Une exclusivité commerciale de 10 ans au sein de l'UE, et de 7 ans aux Etats-Unis, après obtention de l'AMM (indépendamment du brevet). Au cours de cette période, aucun autre médicament similaire et directement concurrent ne peut normalement être mis sur le marché.

### Les autres bénéfices implicites

- permet de se positionner sur une pathologie donnée
- donne de la crédibilité au projet dans son développement et dans sa recherche de financements

### A quel moment la demander ?

Il est recommandé de demander la désignation médicament orphelin le plus tôt possible. Un faisceau de preuves démontrant l'intérêt d'une molécule ou traitement pour une maladie rare (résultats précliniques, cas cliniques, revue de la littérature, etc.), suffit pour constituer un dossier de demande de désignation médicament orphelin.

## ●● La procédure en Europe

### Notification au COMP

(Committee for Orphan Medicinal Products) de son intention de déposer un dossier.

*Par e-mail, au moins 2 mois avant la soumission.*

### Réunion de pré-soumission avec l'EMA

qui permet de préparer son dossier.

*Facultatif mais vivement recommandé.*

### Soumission du dossier, validé par l'EMA (jour 1)

Rédigé en anglais, il comprend une description détaillée de la maladie, sa prévalence, de la prise en charge des patients, du médicament proposé, des preuves de concept et du stade de développement.

### Evaluation du dossier par le COMP

qui donne son opinion positive ou négative sur le dossier (*dans les 60 à 90 jours*).

### Evaluation du dossier par la commission européenne

qui prend la décision finale (*dans les 30 jours*).

### Publication

- de la décision de la commission européenne sur le registre communautaire des médicaments orphelins :

<http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alforphreg.htm>

- du résumé de l'opinion du COMP :

[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/orphan\\_search.jsp&mid=WCOb01ac058001d12b](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/orphan_search.jsp&mid=WCOb01ac058001d12b)

### Bilan après 15 ans d'existence en Europe :

Du 1er janvier 2000 au 1er janvier 2015 :

**2127** demandes de désignation médicament orphelin soumises

**1406** désignations accordées par la commission européenne

**97** AMM obtenues