Fernando Méndez Hermida
Miembro del Comité de Medicamentos Huérfanos en EMA
Agencia Española Del Medicamento Y Productos Sanitarios (AEMPS)

Marco regulatorio de los Medicamentos Huérfanos

X Conferencia Anual de las Plataformas Tecnológicas de Investigación Biomédica: Medicamentos Innovadores, Nanomedicina Tecnología Sanitaria y Mercados Biotecnológicos

La innovación en el Sistema Nacional de Salud
Hotel Meliá Avenida de América, Madrid
C/Juan Ignacio Luca de Tena, 36

Madrid, 7 y 8 de Marzo de 2017

The Committee of Orphan Medicinal Products (COMP)

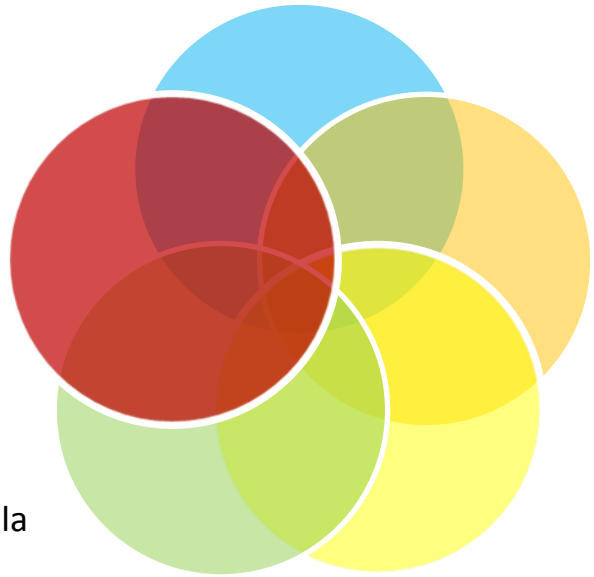
- 1 Presidente electo
- 1 Vice presidente (Rep Pacientes)
- 1 Miembro por país MA (28)
- 3 Representantes de Pacientes
- 3 Miembros de la CE propuestos por la EMA
- 1 Miembro nominado por Noruega e Islandia

TRABAJANDO EN EQUIPO

Distintos Papeles del COMP

Opinión de designación

Contribuir a la evaluación del protocol assistance para Significant Benefit.



Aconsejar a la Comisión en el establecimiento y desarrollo relativo a los medicamentos huérfanos

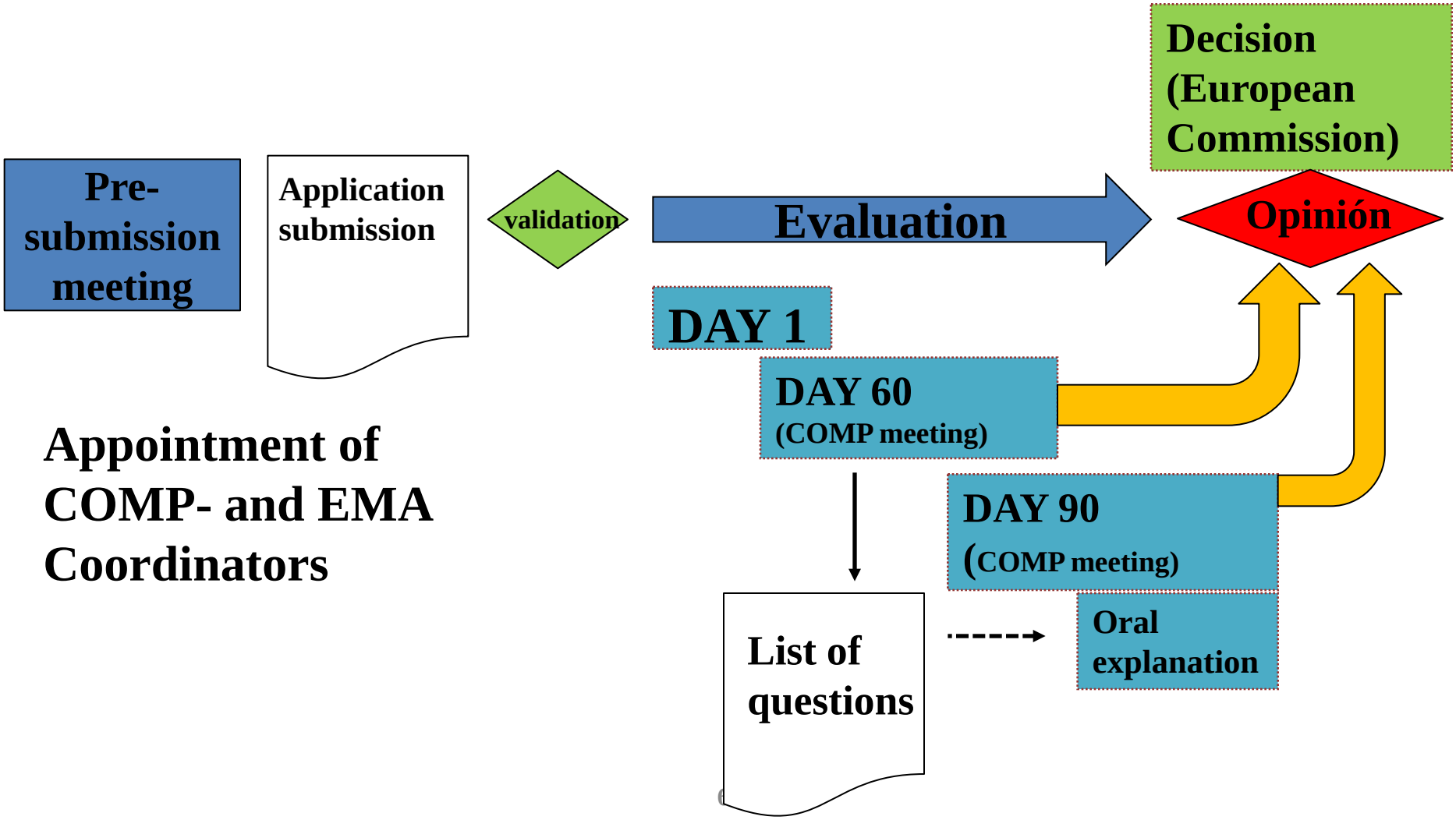
Mantenimiento de designación en para la Autorización de Comercialización (MAA)

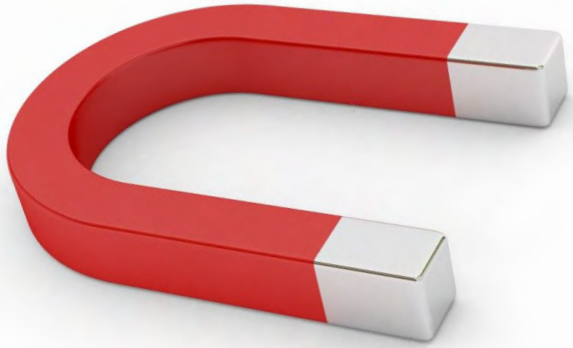
Dar asistencia a la Comisión en relaciones internacionales

Criterios Iniciales de Designación

- Criterios clave que deben cumplirse:
  - Establezca que la condición o enfermedad es una entidad médica diferenciada.
  - Establecer a través de su modo de acción y datos preliminares pertinentes que el producto tiene potencial para tener eficacia en la condición solicitada.
  - Proporcionar un cálculo de prevalencia relevante que cumpla los criterios de ser inferior a 5 en 10.000
  - Cuando haya medicamentos autorizados, el patrocinador deberá establecer un beneficio significativo

Proceso de Designación Inicial





INCENTIVOS

- **Reglamento de Medicamentos Huérfanos**
- **Legislación de investigación clínica**
- **Nuevas herramientas de acceso**

Protección de Mercado

Asesoría Científica gratuita

Reducción de tasas

Promoción a la investigación

Los servicios de la Oficina de Apoyo a la Innovación están destinados a:

- PACIENTES
- GRUPOS ACADÉMICOS
- INVESTIGADORES INDEPENDIENTES
- GRUPOS COOPERATIVOS
- HOSPITALES
- FUNDACIONES DE INVESTIGACIÓN
- PEQUEÑAS Y MEDIANAS EMPRESAS
- INDUSTRIA FARMACÉUTICA EN GENERAL

01. Coordinación con la **Red Europea de Oficinas de Innovación**

02. Apoyo a la **Investigación**

- 2.1. Oficina de Apoyo a la Investigación Clínica Independiente
- 2.2 Apoyo al desarrollo de Medicamentos de Terapias Avanzadas
- 2.3 Asesoría científica nacional
- 2.4 Asesoría científica en el Scientific Advice Working Party de la EMA

03. Acceso a los **medicamentos antes de su autorización**

- 3.1. Ensayos clínicos con medicamentos
- 3.2. Uso compasivo de los medicamentos en investigación

04. Acceso a los **medicamentos después de su autorización**

- 4.1. Informes de Posicionamiento Terapéutico
- 4.2. Recomendaciones de uso de medicamentos autorizados en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica

Oficina de apoyo a la INNOVACIÓN

PRECLÍNICA
ESTUDIOS EXPLORATORIOS
EVALUACIÓN
POSAUTORIZACIÓN 0 a 2 años
POSAUTORIZACIÓN >10/11 años

PATENTE
FASE I
ESTUDIOS CONFIRMATORIOS
AUTORIZACIÓN
POSAUTORIZACIÓN >10/11 años

EU INNOVATION NETWORK

ENSAYOS CLÍNICOS CON MEDICAMENTOS

OFICINA DE APOYO A LA INVESTIGACIÓN (incluyendo terapias avanzadas)

ESTUDIOS OBSERVACIONALES CON MEDICAMENTOS

DESIGNACIÓN MTA*

USO COMPASIVO DE MEDICAMENTOS EN INVESTIGACIÓN

RESGISTROS Y RWD

ASESORÍA CIENTÍFICA (nacional, SWAP o regulatoria)

INFORMES DE POSICIONAMIENTO

ASESORÍA CIENTÍFICA PARALELA EMA/HTA

RECOMENDACIONES DE USO FUERA DE INDICACIÓN

Coordinación Innovación UE

Apoyo Investigación/ Regulatorio

Acceso pre-autorización

Acceso post-autorización