



# „Orphan“ lieky tzv. „lieky na liečbu ojedinele sa vyskytujúcich ochorení“

---

Doc. RNDr. Magdaléna Kuželová, CSc.  
Katedra farmakológie a toxikológie,  
FaFUK, Bratislava

4. 4. 2005



# Ktoré ochorenia sa považujú za zriedkavo sa vyskytujúce?

- Výskyt ochorenia u menej ako **5 chorých na 10 000 obyvateľov** v komunite (EÚ), často vážne, život ohrozujúce, chronické
- Slovensko:  
2700 chorých na 5,4 mil. obyvateľov
- EÚ:  
230 tis. chorých na 450 mil. obyvateľov



# Zriedkavo sa vyskytujúce ochorenia - príklady I.

---

## ■ Onkológia

hepatocelulárny karcinóm, karcinóm obličky, glióm, mnohopočetný myelóm, lymfómy

## ■ Metabolizmus

Fabryho choroba, Niemann-Pickova choroba, Wilsonova choroba, Gaucherova choroba

## ■ Imunológia

Graft versus host choroba, sklerosis multiplex, Wegenerova granulomatóza



# Zriedkavo sa vyskytujúce ochorenia - príklady II.

---

- **Svalovo-kostrové/nervové**  
Fridreichova ataxia, perzistujúci ductus arteriosus, narkolepsia
- **Respiračné**  
cystická fibróza, akútne poškodenie pľúc, syndróm dychovej tiesne
- **Krv**  
pľucna arteriálna hypertenzia, deficit faktora XIII

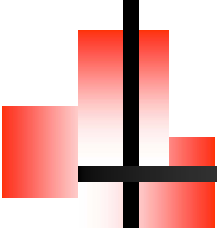
# Kde nájdete informácie o zriedkavo sa vyskytujúcich ochoreniach?



Najväčšia európska organizácia pre zriedkavé ochorenia



**Orphanet:** európska databáza 3600 zriedkavo sa vyskytujúcich ochorení a „orphan“ liekov



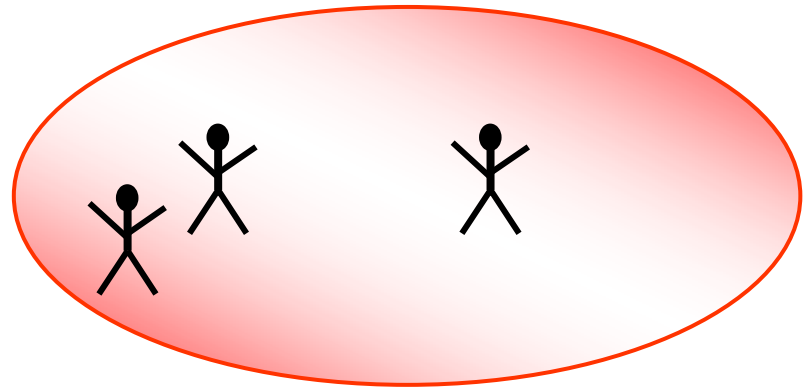
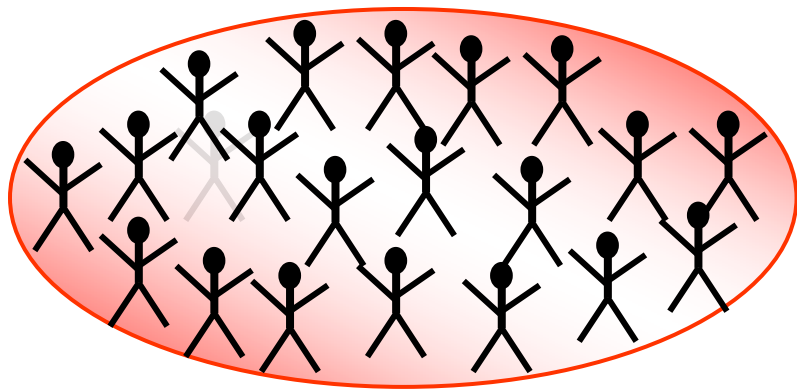
# Ktoré lieky sú určené na liečbu zriedkavo sa vyskytujúcich ochorení?

---

- Lieky, ktoré by nevyvíjali farmaceutické firmy z ekonomických dôvodov ale, ktoré sú potrebné pre zdravie obyvateľstva
- Určené pre diagnózu, prevenciu alebo liečbu život ohrozujúcich alebo veľmi vážnych ochorení, ktoré sú zriedkavé

„Orphan“ lieky = lieky siroty

# Prečo je potrebné podporovať vývoj „orphan“ liekov?

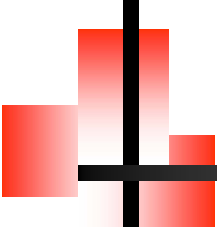




# Čo znamená dezignácia „orphan“ liekov v EÚ?

- Liečivo/liek musí spĺňať určité kritéria pre označenie „orphan“
- Rozhodnutie či liek spĺňa tieto kritériá sa nazýva **dezignácia**
- Liek je potom zaradený do registra „orphan“ liekov





# Kto rozhoduje o dezignácii „orphan“ liekov v EÚ?

Vedecká komisia pre „orphan“ lieky  
COMP v Európskej liekovej agentúre v  
EMA v Londýne 

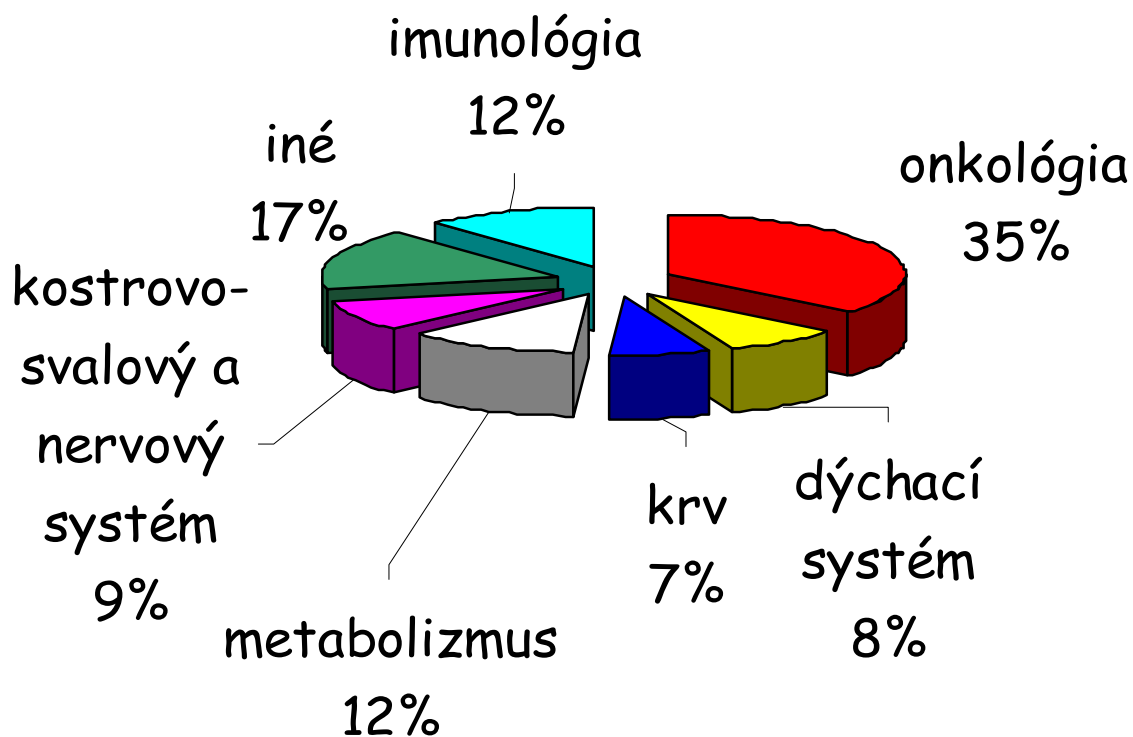
Zloženie:

1 zástupca z každého členského štátu

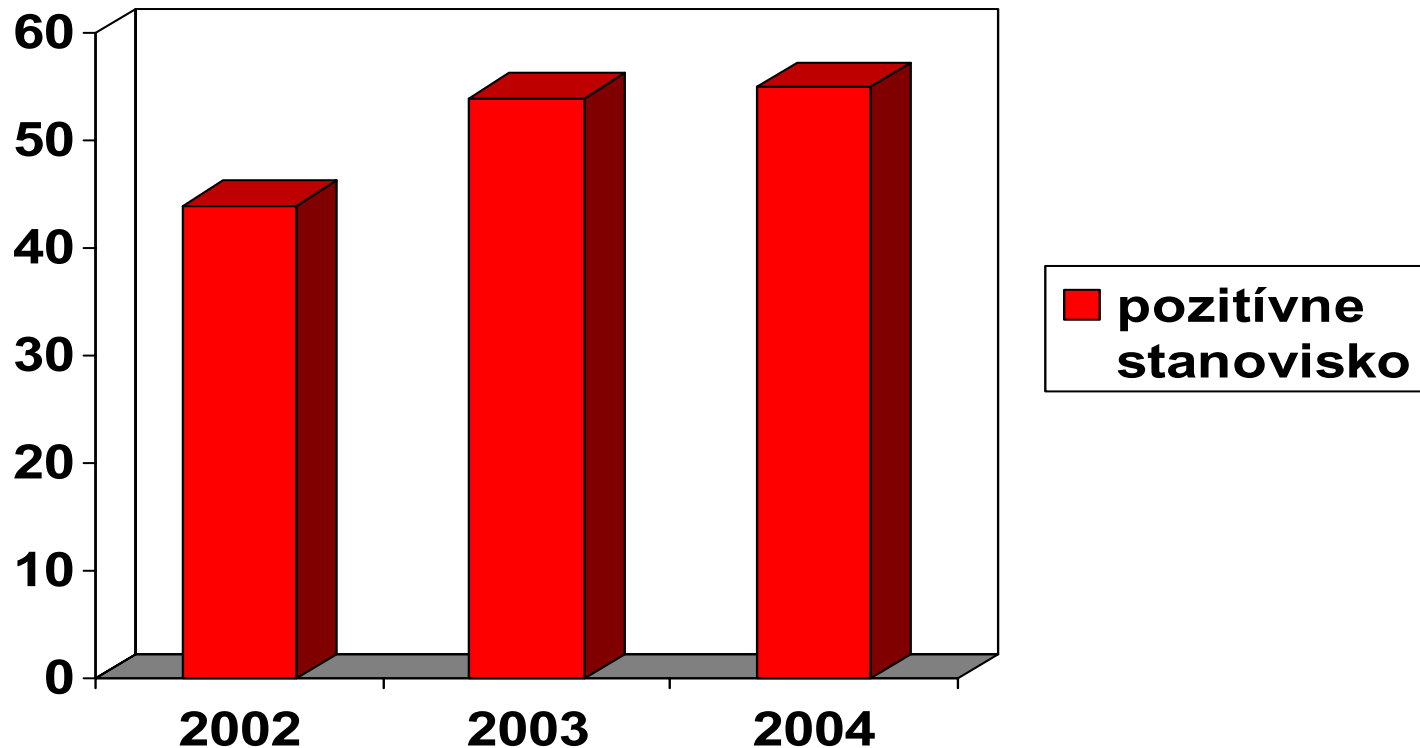
3 zástupcovia EMA

3 zástupcovia patientskych organizácií

# Dezignácia „orphan“ liekov a terapeutické systémy



# Koľko je „orphan“ liekov ročne dezignovaných v EMEA?

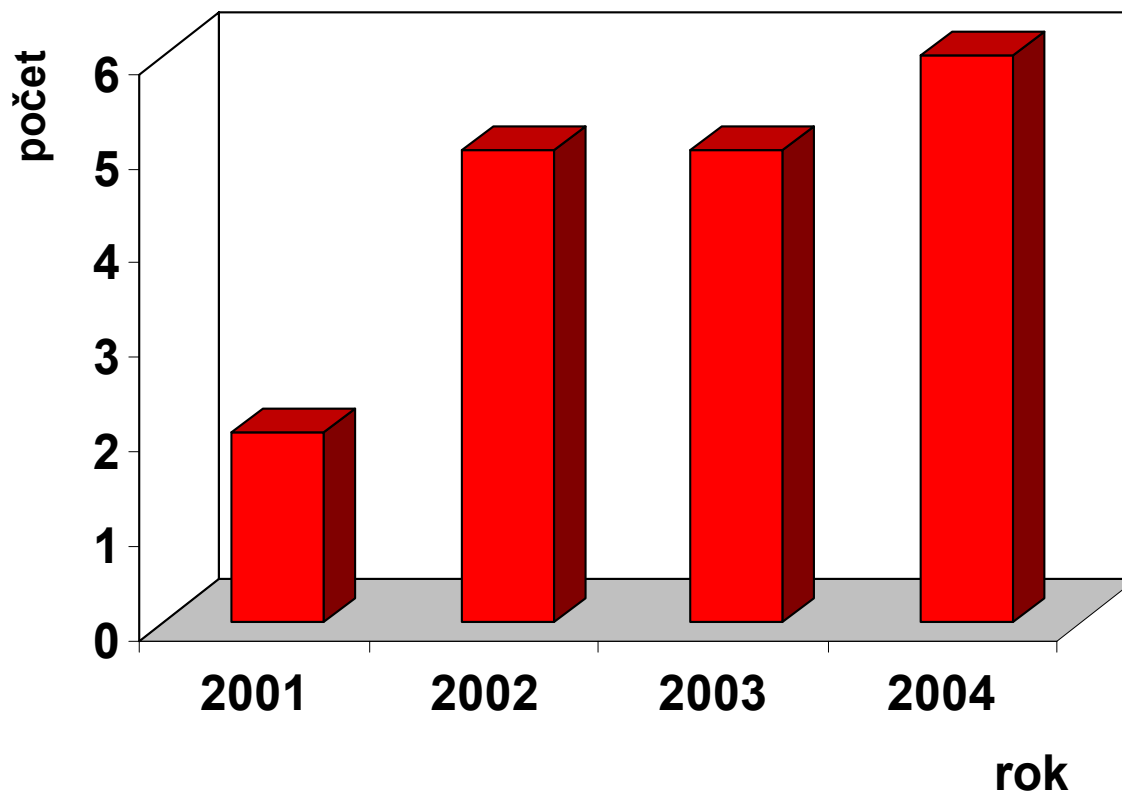




# Ako je podporovaný vývoj „orphan“ liekov v EÚ?

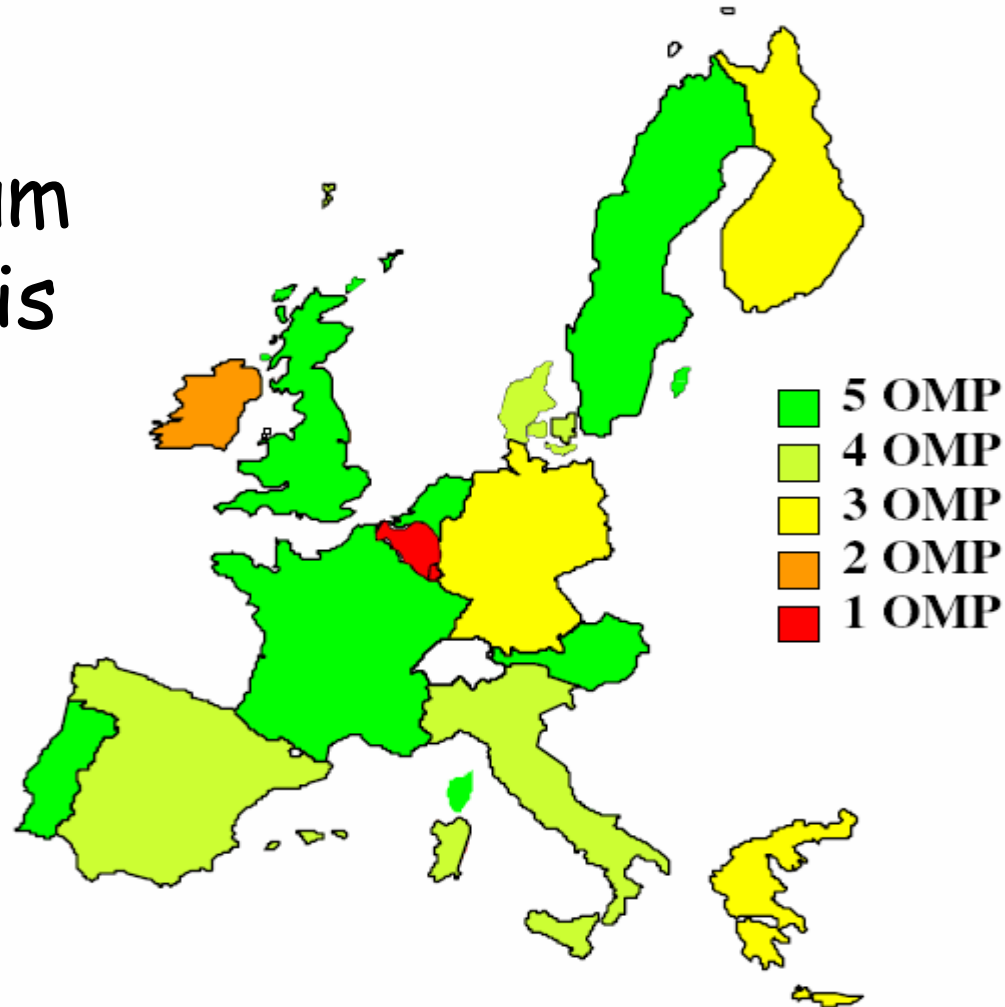
- Finančná podpora výskumu orphan liekov EÚ
- Pomoc pri vývoji orphan liekov v EMEA
- Priamy prístup k registrácii
- Zníženie poplatkov za registračný proces
- Výhody po zaregistrovaní v EÚ  
10 rokov sa nemôže zaviesť na trh podobný liek

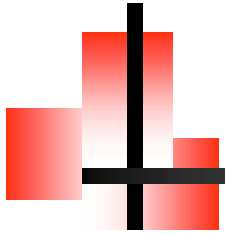
# Koľko je „orphan“ liekov ročne zaregistrovaných v EMEA?



# Počet dostupných „orphan“ liekov v jednotlivých EÚ krajinách-(2003)

Prieskum  
Eurordis





# Užitečné zdroje informací

---

**EMA - Londýn, Velká Británie**

<http://www.emea.eu.int>

**Register orphan liekov**

<http://www.pharmacos.eudra.org/F2/register/orphreg.htm>

**Orphanet**

<http://www.orpha.net/static>

**Eurordisk**

<http://www.eurordis.org>