

Sommaire

| | | |
|----------|---|----------|
| 1 | Notions, définitions ,abréviations | 2 |
| 1.1 | Définition du statut de médicament orphelin | 2 |
| 1.2 | Abréviations..... | 2 |
| 2 | Introduction | 2 |
| 3 | Objet | 2 |
| 4 | Champ d'application | 2 |
| 5 | Autres documents applicables..... | 2 |
| 6 | Partie 1 : demandes de reconnaissance du SMO (art. 4 – 7 OASMed) | 3 |
| 6.1 | Principe de reconnaissance du SMO..... | 3 |
| 6.2 | Aspects formels et documents à soumettre | 3 |
| 6.3 | Date d'envoi de la demande de reconnaissance du SMO..... | 3 |
| 6.4 | Examen de la demande de reconnaissance du SMO | 4 |
| 6.4.1 | Examen d'une demande selon l'art. 4, al. 1, let. a OASMed | 4 |
| 6.4.2 | Examen d'une demande selon l'art. 4, al. 1, let. b OASMed | 4 |
| 6.5 | SMO et modifications essentielles | 4 |
| 6.6 | Retrait du SMO ou modifications du statut à l'étranger | 5 |
| 7 | Partie 2 : demandes d'autorisation d'un médicament avec SMO (art. 24 – 26 OASMed) .. | 5 |
| 7.1 | Généralités | 5 |
| 7.2 | Examen de la demande..... | 5 |
| 7.3 | Délais de traitement..... | 5 |
| 7.4 | Liste des médicaments bénéficiant du SMO | 5 |
| 7.5 | Émoluments | 6 |

Suivi des modifications

| Version | Date d'approbation | Description, remarques (rédigées par l'auteur) | Paraphe de l'auteur (initiales) |
|---------|--------------------|--|---------------------------------|
| 01 | 18.12.12 | Création de l'aide-mémoire «Explications concernant les médicaments orphelins » à partir des commentaires sur les médicaments orphelins et ajout découlant de l'art. 4, al. 3 ^{bis} OASMed. | rc, apk |

1 Notions, définitions ,abréviations

1.1 Définition du statut de médicament orphelin

Le statut de médicament orphelin (SMO) est octroyé aux médicaments ou principes actifs qui sont destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une maladie mettant en danger la vie du patient ou entraînant une invalidité chronique, qui ne touche pas plus de cinq personnes sur dix mille en Suisse au moment du dépôt de la demande (art. 4, al. 1, let. a OASMéd),

ou

aux médicaments ou principes actifs auxquels le statut de médicament orphelin a été accordé dans un pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent au sens de l'art. 13 LPT_h (art. 4, al. 1, let. b OASMéd).

1.2 Abréviations

LoQ liste de questions

LPT_h loi fédérale du 15 décembre 2000 sur les médicaments et les dispositifs médicaux (loi sur les produits thérapeutiques ; RS 812.21)

NAS nouveau principe actif

OASMéd ordonnance de l'Institut suisse des produits thérapeutiques du 22 juin 2006 sur l'autorisation simplifiée de médicaments et l'autorisation de médicaments sur annonce (RS 812.212.23)

SMO statut de médicament orphelin

2 Introduction

Conformément à l'art. 14, al. 1, let. f LPT_h, les médicaments importants pour des maladies rares peuvent bénéficier d'une procédure d'autorisation simplifiée. Les dispositions d'exécution relatives à cette disposition ont été intégrées dans l'OASMéd. Cette ordonnance fait la distinction entre la reconnaissance du statut de médicament important contre des maladies rares (art. 4 - 7 OASMéd) et l'autorisation d'un médicament ayant reçu le SMO de Swissmedic (art. 24 - 26 OASMéd).

3 Objet

Les présentes explications décrivent les exigences à remplir sur le fond et sur la forme par une demande de reconnaissance du SMO (partie 1 / chiffre 6) ainsi que par une demande d'autorisation d'un médicament contre des maladies rares (partie 2 / chiffre 7). Elles servent d'outil à Swissmedic pour appliquer de façon uniforme et équitable les dispositions légales, et remplacent le document sur la description du processus *d'autorisation d'une préparation bénéficiant du statut de médicament orphelin (seulement en allemand)*.

4 Champ d'application

Les commentaires figurant dans le présent aide-mémoire se réfèrent exclusivement aux médicaments à usage humain.

5 Autres documents applicables

Seuls sont mentionnés ici les documents créés tout spécialement pour les médicaments orphelins. Les formulaires de demande, listes de contrôle, aide-mémoire ou ordonnances administratives d'ordre général n'y figurent donc pas.

Identification des documents

[ZL102_00_002f_FO_Demande_de_reconnaissance_de_statut_medicament_orphelin](#)

[ZL102_00_002_PB_Anerkennung_Orphan_Drug_Status](#) (seulement en allemand)

6 Partie 1 : demandes de reconnaissance du SMO (art. 4 – 7 OASMéd)

6.1 Principe de reconnaissance du SMO

Le SMO est accordé aux médicaments qui sont destinés au diagnostic, à la prévention et au traitement d'une maladie rare.

Le critère de rareté d'une maladie se réfère à la maladie dans sa globalité, c'est-à-dire à tous ses stades. En conséquence, il ne se rapporte pas à un stade isolé de l'évolution de la maladie ou à un sous-groupe défini par des marqueurs moléculaires, à moins que, du fait d'une autre pathologie, il ne se distingue de telle sorte qu'il soit reconnu et classé comme une maladie indépendante. Un sous-groupe (p. ex. cancer du sein HER2 positif) peut donc aussi peu être qualifié de maladie rare indépendante que la limitation d'une indication, p. ex. à un traitement de deuxième attention.

6.2 Aspects formels et documents à soumettre

Contrairement à ce qui se passe pour une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM), le requérant qui dépose une demande de reconnaissance¹ du SMO n'est pas obligé de disposer d'une autorisation de fabrication, d'importation ou de faire le commerce de gros. S'il n'est pas tenu non plus d'avoir son siège en Suisse, il doit cependant y posséder une adresse. Swissmedic perçoit une avance sur émoluments.

Les formulaires et documents suivants doivent être complétés et joints à la demande de reconnaissance du SMO :

- Formulaire *Demande de reconnaissance de statut médicament orphelin*
- Lettre d'accompagnement
- Documentation scientifique

La documentation scientifique doit prouver que le médicament satisfait aux critères énoncés à l'art. 4, al. 1 et 2 OASMéd. Ces documents doivent dans tous les cas être soumis à Swissmedic, que le requérant invoque la lettre a ou la lettre b de l'art. 4, al. 1 OASMéd.

Si la demande doit être examinée selon l'art. 4, al. 1, let. b OASMéd (reconnaissance dans un pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent), il faut envoyer en plus des justificatifs attestant que le médicament ayant fait l'objet de la demande de reconnaissance du SMO et le médicament reconnu comme médicament orphelin à l'étranger sont identiques (art. 4, al. 4 OASMéd). Ces documents peuvent être soit intégrés dans la lettre d'accompagnement soit envoyés comme attestation séparée (portant date et signature).

6.3 Date d'envoi de la demande de reconnaissance du SMO

Le requérant peut soumettre la demande de reconnaissance du SMO soit avant, soit en même temps que la demande d'AMM, voire après approbation de cette demande d'AMM (art. 4, al. 3 OASMéd). La demande de reconnaissance du SMO est traitée indépendamment de la demande d'AMM et, du fait des délais de traitement plus courts (voir ci-dessous), elle est approuvée (si elle l'est) avant la demande d'AMM.

¹ Pour l'envoi de la demande d'autorisation de mise sur le marché, il faut disposer d'une autorisation d'exploitation conforme et avoir son siège en suisse (voir l' art. 10 LPTh)

6.4 Examen de la demande de reconnaissance du SMO

Le requérant envoie la demande de reconnaissance du SMO, Swissmedic vérifie les documents et procède à un examen. Le résultat de cet examen est généralement communiqué au requérant sous forme de préavis, et un délai de 30 jours lui est accordé pour prendre position. Si les documents soumis soulèvent des questions et qu'ainsi, aucune décision ne peut encore être prise, le requérant reçoit d'abord une lettre contenant une LoQ.

Un SMO n'est accordé qu'à un médicament à usage humain pour lequel le requérant fournit les justificatifs demandés à l'art. 4 OASMed.

En principe, deux cas de figure peuvent se présenter :

6.4.1 Examen d'une demande selon l'art. 4, al. 1, let. a OASMed

Si la demande ne repose pas sur la reconnaissance du statut de médicament orphelin dans un pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent, il faut apporter la preuve que le médicament est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une maladie mettant en danger la vie du patient ou entraînant une invalidité chronique, qui ne touche pas plus de cinq personnes sur dix mille en Suisse au moment du dépôt de la demande. Les critères de prévalence doivent être justifiés selon l'art. 4, al. 2 OASMed.

6.4.2 Examen d'une demande selon l'art. 4, al. 1, let. b OASMed

Si la demande repose sur la reconnaissance du statut de médicament orphelin dans un pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent au sens de l'art. 13 LPT^h, il faut apporter la preuve que le médicament est identique à celui qui a été reconnu comme un médicament orphelin à l'étranger. Swissmedic accepte comme justificatif la lettre de reconnaissance de l'autorité étrangère. Le requérant doit également prouver que la préparation faisant l'objet de la demande est la même préparation (ou le même principe actif) que celle qui a reçu le SMO à l'étranger.

Avec la demande, il faut aussi envoyer à Swissmedic tous les documents administratifs et scientifiques qui ont été soumis à l'autorité étrangère pour permettre la reconnaissance du SMO. Swissmedic accorde en effet le SMO sans évaluer lui-même au préalable les données ayant servi à établir la gravité et la rareté de la maladie.

Ce n'est que pour les principes actifs ou les médicaments dont le SMO a été apprécié différemment par deux pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent au sens de l'article 13 LPT^h, que l'institut évalue lui-même les données servant à établir la gravité et la rareté de la maladie (art. 4, al. 3^{bis} OASMed).

6.5 SMO et modifications essentielles

Il est également possible, pour un médicament doté du SMO, de revendiquer une maladie supplémentaire au titre de nouvelle indication. On peut alors conserver la dénomination de la préparation et le numéro d'AMM, si les critères du SMO énoncés à l'art. 4 OASMed sont toujours satisfaits pour cette indication ou maladie supplémentaire.

Si une nouvelle indication supplémentaire pour une maladie rare doit être revendiquée pour un médicament déjà autorisé mais ne bénéficiant pas du SMO, il faut alors déposer une demande pour un médicament séparé, couvrant exclusivement la ou les indication(s) de la maladie rare. Cette préparation doit dans ce cas recevoir une nouvelle dénomination et bénéficie d'un nouveau numéro d'AMM (art. 4, al. 5 OASMed).

Si la demande porte sur une nouvelle forme galénique d'un médicament déjà autorisé doté du SMO, il est inutile de déposer une demande séparée de reconnaissance du SMO. Il suffit alors de renvoyer au SMO dans la lettre d'accompagnement à la demande de la nouvelle forme galénique.

6.6 Retrait du SMO ou modifications du statut à l'étranger

Le SMO peut être retiré soit d'office, soit sur demande. Si le SMO est révoqué sur demande du requérant ou du titulaire de l'autorisation, la procédure est analogue à celle d'une renonciation à une AMM. Si, par contre, le SMO est révoqué parce que les critères énoncés à l'art. 4 OASMed ne sont plus remplis, l'institut engage une procédure de réexamen.

Toute modification du SMO à l'étranger (comme un retrait ordonné, une renonciation volontaire ou l'ouverture d'une procédure de réexamen) doit être immédiatement communiquée à Swissmedic.

7 Partie 2 : demandes d'autorisation d'un médicament avec SMO (art. 24 – 26 OASMed)

7.1 Généralités

Tout médicament bénéficiant du SMO selon l'art. 4 OASMed peut faire l'objet d'une procédure d'autorisation simplifiée (art. 24, al. 1 OASMed). La procédure d'AMM d'un médicament bénéficiant du SMO correspond globalement à celle qui est prévue pour la catégorie de médicaments concernée. Les directives énoncées dans les ordonnances administratives *Instructions relatives à l'autorisation de médicaments à usage humain contenant de nouveaux principes actifs (NAS) et de modifications essentielles* et *Instructions pour l'autorisation de médicaments à usage humain contenant des principes actifs connus* s'appliquent donc aussi à l'autorisation de médicaments bénéficiant du SMO. Le présent aide-mémoire n'aborde donc que les points sur lesquels l'autorisation d'un médicament avec SMO se distingue d'une demande d'autorisation ordinaire.

7.2 Examen de la demande

Toute autorisation d'un médicament bénéficiant du SMO suppose que le requérant apporte la preuve de sa qualité, de sa sécurité et de son efficacité. Lors de l'examen des données précliniques et cliniques, le caractère rare de la maladie est cependant aussi pris en considération, en particulier le nombre limité de volontaires et la difficulté à réaliser des études. Pour les médicaments orphelins, Swissmedic acceptera donc, dans des cas motivés, des publications de résultats en lieu et place de rapports d'études complets, ce qui ne signifie pas pour autant qu'un dossier scientifique insuffisant peut être soumis pour l'autorisation d'un médicament orphelin.

7.3 Délais de traitement

Les délais applicables aux demandes d'AMM de médicaments avec SMO sont ceux de la catégorie correspondante qui sont énoncés dans l'ordonnance administrative *sur les délais applicables aux demandes d'autorisation*. Dans la mesure du possible, ces demandes sont toutefois traitées en priorité.

7.4 Liste des médicaments bénéficiant du SMO

Swissmedic tient et publie sur Internet une liste² des médicaments bénéficiant du SMO en Suisse (art. 7, al. 1 OASMed). Après reconnaissance du SMO, les médicaments sont intégrés dans un délai d'un mois dans cette liste.

La liste est complétée après délivrance de l'AMM. On y ajoute la dénomination du médicament, son numéro d'AMM ainsi que de la date de l'autorisation (art. 7 al. 3 OASMed).

En cas de retrait du SMO, une note est insérée dans la liste. Le médicament est ensuite supprimé de la liste six mois au plus après le retrait de SMO.

² Lien vers la page Internet: <http://www.swissmedic.ch/daten/00081/index.html?lang=fr>

7.5 Émoluments

La nouvelle ordonnance sur les émoluments de l'Institut suisse des produits thérapeutiques (ordonnance sur les émoluments des produits thérapeutiques, OEPT ; RS 812.214.5) et son règlement sur les émoluments s'appliquent à partir du 1^{er} janvier 2013.