Le **Comité des médicaments orphelins** (COMP) s'est réuni les 11 et 12 mars dernier à Londres. Ce Comité de l'Agence européenne des médicaments est chargé d'examiner les demandes de désignations[1] déposées par des personnes physiques ou morales souhaitant développer des médicaments destinés au traitement de maladies rares, appelés médicaments « orphelins ». Le COMP a rendu au cours de cette session des avis favorables pour 6 désignations de médicaments orphelins et a recommandé le maintien du statut d'orphelin pour 2 nouveaux médicaments .

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 6 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- La drépanocytose (Cellules souches hématopoïétiques autologues CD 34+ transduites par un vecteur lentiviral codant pour le gène beta A-T87Q-globine)
- Les leucémies/lymphomes B lymphoblastiques (Cellules T autologues transduites par un vecteur lentiviral contenant un récepteur chimérique d'un antigène dirigé contre le CD19)
- Le cancer de l'ovaire (Adénovirus de sérotype 5/3 génétiquement modifié pour coder le GM-CSF)
- L'amylose à transthyrétine (Oligonucléotide synthétique dirigé contre l'ARN messager de la transthyrétine)
- Le myélome à plasmocytes (Anticorps monoclonal humanisé dirigé contre CD38)
- Le lymphome lymphoplasmocytaire (Ibrutinib)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de deux nouveaux médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- Vimizim (elosulfase alfa) pour le traitement de la mucopolysaccharidose de type IVA

(syndrome de Morquio A)
- Deltyba (delamanid) pour le traitement de la tuberculose

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont définis au niveau européen par le Règlement (CE) N° 141/2000 du 16 décembre 1999 qui a établi des critères pour le diagnostic d'une maladie

Lire aussi

- Communiqué du COMP de mars 2014 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de février 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information (25/02/2014)
- Retour sur la réunion de novembre 2013 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'information (28/11/2013)
- ATU de cohorte Vimizim

[1] La désignation de médicament orphelin n'équivaut pas à une recommandation d'utilisation de ce médicament pour l'affection désignée car elle ne signifie nullement que ce médicament satisfera aux critères d'efficacité, de tolérance et de qualité nécessaires à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché. Comme pour tous autres médicaments, ces critères ne pourront être évalués que lorsque le dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché aura été soumis.