Le **Comité des médicaments orphelins** (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 21 au 23 mars 2016 à Londres. Ce Comité 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 18 avis favorables pour la désignation de **médicaments orphelins** et a recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

Le COMP a rendu un **avis favorable** pour la désignation **médicaments orphelins** de 18 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- La prévention de la maladie à cytomegalovirus (brincidofovir)
- Le sarcome des tissus mous (anticorps monoclonal)
- La leucémie aigüe myéloïde (2 médicaments chimiques)
- L'atrophie musculaire spinale et bulbaire liée à l'X (maladie de Kennedy) (médicament chimique)
- L'amaurose congénitale de Leber (oligonucléotide antisens)
- L'épidermolyse bulleuse (thérapie génique)
- La sclérodermie systémique (thérapie cellulaire)
- La prévention de la maladie du greffon contre l'hôte (cannabidiol)
- La lipomatose symétrique familiale (combinaison de plusieurs composés)
- L'uvéite non infectieuse (fluocinolone)
- La paralysie supranucléaire progressive (anticorps anti-tau humain)
- La bêta-thalassémie intermédiaire et majeure (médicament chimique)
- Le syndrome d'Angelman (thérapie génique)
- La sclérose latérale amyotrophique (facteur neurotrophique)
- Le lymphome T cutané (resiquimod)
- La neurodégénérescence associée à un déficit en pantothénate kinase (médicament chimique)
- Le mésothéliome malin (médicament chimique)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- ALPROLIX (eftrenonacog alfa) et IDELVION (albutrepenonacog alfa) dans le traitement de l'hémophilie B.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont destinés au traitement [illegible] le Règlement (CE) N° 141/2000 [illegible]

Lire aussi

- Communiqué du COMP de mars 2016 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Communiqué du CHMP de février 2016

[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.

Business Today

Site français qui donne la parole aux dirigeants d'entreprises, aussi bien à ceux du CAC 40 , que ceux de startups et de sociétés qui innovent ,

Businesstoday.fr

vous renseigne sur l'activité économique en France.