Le **Comité des médicaments orphelins** (COMP) de l'**Agence européenne des médicaments** s'est réuni du 17 au 19 mai 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 19 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins et a recommandé le maintien du statut orphelin d'un médicament.

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

- L'acromégalie (médicament chimique)
- Le lymphome B diffus à grandes cellules (médicament chimique)
- La transplantation de cellules souches hématopoïétiques (2 thérapies cellulaires)
- L'insuffisance hépatique aiguë (acide citrique monohydraté)
- Le gliome (eflornithine)
- La neuromyélite optique (anticorps monoclonal)
- L'œsophagite à éosinophiles (anticorps monoclonal)
- Le sepsis néonatal (mélatonine)
- L'entérocolite nécrosante (mélatonine)
- Le syndrome de détresse respiratoire aiguë (molgramostim)
- Les syndromes de déficit en créatine (cyclocréatine)
- La paralysie périodique (diclofénamide)
- Le syndrome de Crigler-Najar (médicament de thérapie innovante)
- Le syndrome du X fragile (association de pyridoxine et d'acide L-pyroglutamique)
- L'ostéogénèse imparfaite (anticorps monoclonal)
- Le syndrome de Guillain-Barré (protéine recombinante dérivée de la salive de tique)
- Le syndrome de Prader-Willi (setmelanotide)
- L'hypoparathyroïdisme (teriparatide)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin d'un médicament ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'extension de son autorisation de mise sur le marché :

- GAZYVARO (obinutuzumab) dans le traitement du lymphome folliculaire

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies le Règlement (CE) N° 141/2000, qui établit des mesures pour encourager

Lire aussi

- Communiqué du COMP de mai 2016 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Communiqué du CHMP d'avril 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.