Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 14 au 16 février 2017 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 14 avis favorables.

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

- La maladie de Niemann–Pick (acetylleucine),
- La rétinite pigmentaire (oligonucléotide antisense),
- Le syndrome de Lennox-Gastaut (cannabidiol),
- Les maladies du spectre de la neuromyélite optique (inebilizumab),
- Les tumeurs de la granulosa (kétoconazole, megestrol acétate),
- Le sarcome des tissus mous (médicament chimique),
- La maladie de Fabry (thérapie génique),
- Le déficit en ornithine transcarbamylase (thérapie génique),
- La gangliosidose à GM1 (thérapie génique),
- La transplantation de cellules souches hématopoïétiques (thérapie cellulaire),
- La thromboangéite oblitérante ou maladie de Buerger (thérapie cellulaire),
- La mucoviscidose (peptide),
- Le cancer de l'ovaire (nanoparticules de camptothécine)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont définis au niveau européen par le Règlement (CE) n° 141/2000 qui établit des critères pour la désignation d'une maladie

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation (february 2017) - Site EMA

[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.