Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 13 au 15 juin 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 9 avis favorables et 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 :

- La lésion de la moelle épinière (oxymetazoline hydrochloride)
- La sclérose latérale amyotrophique (anticorps monoclonal)
- La pachyonychie congénitale (sirolimus)
- Les tumeurs stromales gastro-intestinales (médicament chimique)
- Le lymphome B diffus à grandes cellules (thérapie cellulaire)
- L'hyperoxalurie primaire (enzyme)
- Le carcinome hépatocellulaire (médicament chimique; tirapazamine)
- La neuropathie anti-MAG (médicament chimique)
- La rétinopathie de prématurité (rétinol)

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

- Oxervate (cénégermine) dans le traitement de la kératite neurotrophique

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies

Règlement (CE) N° 141/2000

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation - June 2017- Site EMA
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour 11 nouveaux médicaments : retour sur la réunion de mai 2017 du CHMP (31/05/2017) - Point d'Information

[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.