Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 07 au 09 octobre 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 des avis favorables pour 29 désignations de médicaments orphelins et le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 29 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- **Sclérodermie systémique** (1-(6-benzothiazolylsulfonyl)-5-chloro-1H-indole-2-butanoic acid ; Anticorps monoclonal humanisé IgG1 anti eotaxin-2 humain)

- **Fibrose pulmonaire idiopathique** (1-(6-benzothiazolylsulfonyl)-5-chloro-1H-indole-2-butanoic acid)

- **Mucoviscidose** (4-[[(1S,4S)-5-[[4-[4-(oxazol-2-yl)phenoxy]phenyl]methyl]-2,5-diazabicyclo[2.2.1]hept-2-yl]methyl]benzoic acid)
- **Hémophilie A** (combinaison d'acides aminés)
- **Leucémie aiguë myéloïde** (préparation de lymphocytes-T de donneur dépourvue par photothérapie de leurs cellules T alloréactives)
- **Syndrome aigu de détresse respiratoire** (imatinib)
- **Troubles myotoniques** (mexilétine)
- **Myélofibrose consécutive à une thrombocytémie essentielle** *(* Pentraxine- 2 humaine recombinante)
- **Myélofibrose consécutive à une Polyglobulie de Vaquez** *(* Pentraxine- 2 humaine recombinante)
- **Myélofibrose primitive** *(* Pentraxine- 2 humaine recombinante)
- **Myélome à plasmocytes** (selinexor)
- **Leucémie lymphoïde chronique/ le lymphome lymphocytaire à petites cellules** (selinexor)

- **Polyangéite microscopique** ((2R,3S)-2-(4-cyclopentylaminophenyl)-1-(2-fluoro-6-methylbenzoyl)piperidine-3-carboxylic acid(4-methyl-3-trifluoromethylphenyl)amide)
- **Granulomatose avec polyangéite** ((2R,3S)-2-(4-cyclopentylaminophenyl)-1-(2-fluoro-6-methylbenzoyl)piperidine-3-carboxylic acid(4-methyl-3-trifluoromethylphenyl)amide)
- **Maladie de Gaucher** ((3S)-1-azabicyclo[2.2.2]oct-3-yl{2-[2-(4-fluorophenyl)-1,3-thiazol-4-yl]propan-2-yl}carbamate)

- **Dystrophie musculaire de Duchenne** (vecteur viral adéno-associé de sérotype 8 contenant le gène humain MD1)
- **Maladie de Niemman Pick, type C** (arimoclomol citrate)
- **Mucopolysaccharidose de type 1** (ataluren ; pentosan polysulfate sodique)
- **Télangiectasie hémorragique héréditaire** (bazedoxifene)
- **Gliome** (chloroquine ; olaptesed glycol)
- **Hyperthermie maligne** (dantrolene sodique)
- **Carcinome hépatocellulaire** (*hémoglobine* liée à la *diaspirine* **)**
- **Fibrodysplasie ossifiante progressive** (palovarotene)
- ***Xeroderma pigmentosum*** (combinaison d'acides aminés)
- **Dermatomyosite** (siponimod)
- **Polymyosite** (siponimod)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP :

Octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- **Ketoconazole HRA (ketoconazole)** dans le traitement du syndrome de Cushing

Extension d'autorisation de mise sur le marché :

- **Signifor (pasireotide)** dans le traitement de l'acromégalie.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

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

Le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères pour désigner un médic

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation (17/11/2014) - Communiqué Site EMA
- Quinze avis favorables pour de nouvelles AMM, des patients entendus pour la première fois : retour sur la réunion de septembre 2014 du CHMP (01/10/2014) - 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.