Le Comité des **médicaments orphelins** (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 19 au 21 avril 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 **14 avis favorables** pour la désignation de médicaments orphelins et a recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 14 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- La myosite à inclusions (arimoclomol)
- L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (anticorps monoclonal)
- Le cancer des voies biliaires (médicament chimique)
- La rétinite pigmentaire (médicament chimique)
- La béta-thalassémie intermédiaire et majeure (thérapie génique)
- La sclérose latérale amyotrophique (médicament chimique)
- La cystite interstitielle (pentosan polysulfate)
- L'homocystinurie (cystathionine beta-synthase modifiée)
- La rétinite pigmentaire due à des mutations du gène RPGR (thérapie génique)
- La maladie du greffon contre l'hôte (rimiducid)
- Le cancer du poumon à petites cellules (rovalpituzumab)
- La mucoviscidose (association de nitrite de sodium et d'EDTA)
- L'adrénoleucodystrophie (temsirolimus)
- L'histiocytose langerhansienne (vemurafenib)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- DARZALEX (daratumumab) dans le traitement du myélome multiple
- GALAFOLD (migalastat) dans le traitement de la maladie de Fabry
- STRIMVELIS (thérapie génique) dans le traitement du déficit immunitaire combiné sévère (DICS) par déficit en adénosine désaminase (ADA)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie le Règlement (CE) n° 141/2000 qui établit des critères pour

Lire aussi

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