Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni les 8 et 9 avril 2014 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 12 désignations de médicaments orphelins et a recommandé le maintien du statut d'orphelin pour 4 nouveaux médicaments.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 12 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Le cancer des voies biliaires ((5R,5aR,8aR,9S)-9-[[4,6-O-[(R)-Ethylidene]- -D-glucopyranosyl]-oxy]-5-(4-({[(2,2-dimethyl-1,3-dioxolan-4-yl)methoxy]carbonyl}oxy)-3,5-dimethoxyphenyl)-5,8,8a,9-tetrahydroisobenzofuro[5,6-f][1,3]benzodioxol-6(5aH)-one) ;
- Le lymphome folliculaire (177Lu-tetraxetan-tetulomab) ;
- Les tumeurs neuroendocrines gastro-entéro-pancréatiques (Lutetium (177Lu) edotreotide) ;
- L'épidermolyse bulleuse (Recombinant humain de collagène de type VII (chaine homotrimère alpha 1),
- Le glaucome traité par chirurgie filtrante (4-(4-Methoxy-phenylamino)-6-methylcarbamyl-quinoline-3-carboxylic acid) ;
- La choroïdérémie (Vecteur viral adéno-associé de sérotype 2 contenant le gène humain CMH codant pour la protéine escorte de Rab) ;
- L'occlusion de la veine centrale de la rétine (Aganirsen) ;
- La mucopolysaccharidose type IIIA ou syndrome de Sanfilippo A (Cellules autologues CD34-transduites avec un vecteur lentoviral contenant le gène SGSH) ;
- Le gliome (Cellules dendritiques autologues pulsées par l'ARN de cellules souches de gliome et Paclitaxel-succinate-Arg-Arg-Leu-Ser-Tyr-Ser-Arg-Arg-Arg-Phe) ;
- La mucormycose ou zygomycose (Isavuconazonium sulfate) ;
- La mucoviscidose (ADN plasmidique codant pour le gène de la CFTR complexé par un agent de transfert de gène non-viral lipidique cationique).

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 4 nouveaux médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- Vynfinit (vintafolide) pour le traitement du cancer de l'ovaire résistant aux platines et surexprimant les récepteurs aux folates
- Folcepri (etarfolatide) et Neocepri (acide folique) pour le diagnostic du cancer de l'ovaire exprimant le récepteur à l'acide folique
- Sylvant (siltuximab) pour la maladie de Castleman chez les patients VIH négatif ou HHV8 négatifs.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladi

Règlement (CE) N° 141/2000

Lire aussi

- Communique du COMP d'avril 2014 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de mars 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information (27/03/2014)

[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.