Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 07 au 09 janvier 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 19 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins, ainsi qu'un avis favorable pour le maintien du statut orphelin d'un médicament.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 19 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- l'angio-œdème héréditaire (médicament chimique),
- le cancer de l'ovaire (vaccin oncolytique),
- la maladie à virus Ebola (sphères d'albumine revêtues de fibrinogène),
- la sclérodermie systémique (nitroglycérine),
- la drépanocytose (2 médicaments : sévuparine, médicament chimique),
- la maladie de Huntington (thérapie génique),
- la dystrophie facio-scapulo-humérale (protéine recombinante),
- l'infection à cytomégalovirus suite à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (médicament d'immunothérapie),
- l'infection par le virus d'Epstein-Barr suite à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (médicament d'immunothérapie),
- l'infection par adénovirus suite à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (médicament d'immunothérapie),
- la leucémie aiguë myéloïde (2 médicaments : alvocidib, ulocuplumab),
- la prévention de l'entérocolite nécrosante (Lactobacillus reuteri),
- la narcolepsie (mazindol),
- la rétinite pigmentaire (myriocin),
- la paralysie supranucléaire progressive (médicament chimique),
- le sarcome des tissus mous (olaratumab),
- le gliome (enzyme recombinante).

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin d'1 médicament ayant

obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- HOLOCLAR (cellules cornéales épithéliales autologues) dans le traitement des lésions de la cornée associées à une déficience en cellules souches limbiques suite à des brûlures oculaires.

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 spécifiques pour la désignation de médicaments

Lire aussi

- Communiqué du COMP de janvier 2015 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de décembre 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information

separator

[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.