Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 08 au 10 décembre 2015 à Londres. Ce Comité est chargé d'examiner les demandes de désignations 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 8 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 8 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Le cancer du pancréas (association de deux immunothérapies)
- L' hyperargininémie (benzoate de sodium)
- L'acidurie argininosuccinique (benzoate de sodium)
- Le syndrome d'irradiation aiguë (entolimod)
- Le cancer de l'anus (immunothérapie)
- Le déficit congénital en alpha-1 antitrypsine (oligomère spécifique du gène SERPINA1)
- Le traitement du sarcome des tissus mous (médicament chimique)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont définis au règlement (CE) N° 141/2000 qui établit les critères pour la désignation de médicaments orphelins.

Lire aussi

- Communiqué du COMP de décembre 2015 sur le site de l'Agence européenne des médicaments

[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.