Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 6 au 8 septembre 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 33 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin d'un médicament.

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

- L'aspergillose invasive (médicament chimique)
- La mucoviscidose (médicament chimique)
- Le sarcome des tissus mous (anticorps monoclonal ; crenolanib)
- La leucomalacie périventriculaire (thérapie cellulaire)
- Le lymphome B diffus à grandes cellules (lymphocytes T génétiquement modifiés ; venetoclax)
- L'ostéomyélite (médicament chimique)
- L'hémophilie A (anticorps monoclonal)
- Les tumeurs neuroendocrines gastro-entéro pancréatiques (peptide antagoniste des récepteurs de la somatostatine radiomarqué)
- Le lymphome T cutané (mogamulizumab)
- La myélofibrose (médicament chimique)
- Les maladies traitées par transplantation de cellules souches hématopoïétiques (anticorps monoclonal anti CD45 radiomarqué)
- L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (peptide)
- Le myélome multiple (venetoclax)
- L'ischémie-reperfusion associée à un arrêt cardiaque (xenon)
- Le syndrome de Smith-Magenis (acebutolol ; melatonine)
- La rétinite pigmentaire (2 thérapies géniques)
- L'encéphalopathie néonatale (thérapie cellulaire)
- La chondrodysplasie métaphysaire type Schmid (carbamazepine)
- La mucopolysachharidose de type IIIA (ou maladie de Sanfilippo) (sulfamidase recombinante modifiéeÂÂÂ ; thérapie génique)
- La leucémie aiguë myéloïde (crenolanib ; oligonucléotide antisense)
- L'hypoglycémie d'origine pancréatique non liée à un insulinome (Exendin (9-39))
- Le lymphome T périphérique (fenretinide)
- Le déficit d'adhésion leucocytaire type I (thérapie génique)
- La dystrophie musculaire de Duchenne (thérapie génique)
- La lymphohistiocytose hémophagocytaire (tadekinig)

- Le gliome (tetrofosmin)
- Le déficit primaire en Coenzyme Q10 (ubiquinol)

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

- **Onivyde** (irinotecan) dans le traitement du cancer du pancréas

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 les critères pour désigner un médicament

Lire aussi

- Communiqué du COMP de septembre 2016 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Communiqué du CHMP de juillet 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.