Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 4 au 6 octobre 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 25 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

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

- L'adrénoleucodystrophie (médicament chimique)
- Le syndrome de Crigler-Najjar (thérapie génique)
- L'infection à cytomegalovirus chez les patients avec une immunodépression cellulaire (thérapie cellulaire)
- La transplantation de cellules souches hématopoïétiques (thérapie cellulaire)
- La néphropathie primaire à IgA (budesonide)
- Le carcinome de Merkel (immunothérapie)
- La pancréatite aiguë (médicament chimique)
- La perte auditive neurosensorielle soudaine (R-azasetron besylate)
- La drépanocytose (hepcidine humaine synthétique ; médicament chimique)
- Le cancer de l'ovaire (vaccin)
- Le lymphome B diffus à grandes cellules (acide valproïque)
- La glycogénose de type 1a (thérapie génique)
- La dystrophie facio-scapulo-humérale (alpha-tocophérol, acide ascorbique, L-selenomethionine, zinc gluconate)
- La variole (brincidofovir)
- La fibrodysplasie ossifiante progressive (anticorps monoclonal)
- La maladie du greffon contre l'hôte (ibrutinib)
- L'hyperphénylalaninémie (polymère)
- Le déficit en décarboxylase des acides aminés aromatiques (thérapie génique)
- L'acidurie argininosuccinique (benzoate de sodium)
- Le déficit en N-acétylglutamate synthase (benzoate de sodium)
- La maladie de Huntington (peptide synthétique)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- **Ninlaro** (ixazomib) dans le traitement du myélome multiple,
- **Lartruvo** (olaratumomab) dans le traitement du sarcome des tissus mous.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies

le Règlement (CE) N° 141/2000

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation- October 2016 - Site EMA
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour dix nouveaux médicaments : retour sur la réunion de septembre 2016 du CHMP (28/09/2016)- Point d'Information

[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.