



Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 11 avril 2017 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 8 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 :

- La leucémie aiguë myéloïde (²²⁵Ac-lintuzumab ; médicament chimique),
- La maladie de Niemann-Pick (acide ursodeoxycholique),
- Le ÂÂ lymphome T cutané (oligonucleotide),
- L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (médicament chimique),
- L'hémophilie A (thérapie génique),
- La lymphocytopénie CD4 idiopathique (fusion d'IL7 à un anticorps),
- La mucoviscidose (tamoxifène).

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 :

- Dinutuximab beta Apeiron (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont définis au [Règlement \(CE\) N° 1411/2000](#) qui établit des incitations pour encourager le développement de médicaments destinés au traitement de maladies rares.

Lire aussi

- [Communiqué du COMP d'avril 2017 sur le site de l'Agence européenne des médicaments](#)

Écrit par ANSM

Mardi, 09 Mai 2017 20:20 - Mis à jour Mardi, 09 Mai 2017 20:23

médicaments

- [Communiqué du CHMP de 14 mars 2017](#)

[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.

Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 11 avril 2017 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 8 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 :

- La leucémie aiguë myéloïde (²²⁵Ac-lintuzumab ; médicament chimique),
- La maladie de Niemann-Pick (acide ursodeoxycholique),
- Le lymphome T cutané (oligonucléotide),
- L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (médicament chimique),
- L'hémophilie A (thérapie génique),
- La lymphocytopénie CD4 idiopathique (fusion d'IL7 à un anticorps),
- La mucoviscidose (tamoxifène).

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 :

- Dinutuximab beta Apeiron (dinutuximab beta) dans le traitement du neuroblastome.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement de maladies rares, et sont, par conséquent, soumis à des critères plus stricts que ceux qui s'appliquent aux médicaments destinés au traitement de maladies courantes.

Lire aussi

- [Communiqué du COMP d'avril 2017 sur le site de l'Agence européenne des médicaments](#)
- [Communiqué du CHMP de 14 mars 2017](#)

ÂÂ

Écrit par ANSM

Mardi, 09 Mai 2017 20:20 - Mis à jour Mardi, 09 Mai 2017 20:23

[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.