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 (^{225} Ac-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 (tamoxifene).

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, à la prévention ou au diagnostic de maladi

le Règlement (CE) N° 141/2000

Lire aussi

- Communiqué du COMP d'avril 2017 sur le site de l'Agence européenne des

médicaments

- Communiqué du CHMP deÂÂ 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] ÂÂ 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 suivantesÂÂ :

- La leucémie aiguë myéloïde (^{225} Ac-lintuzumabÂÂ ; 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 (tamoxifene).

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

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

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «ÂÂ orphelinsÂÂ » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies graves, le règlement (CE) N° 141/2000 ÂÂ qui établit des critères pour désigner un médicament orphelin

Lire aussi

- Communiqué du COMP d'avril 2017 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Communiqué du CHMP deÂÂ mars 2017

ÂÂ

[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.