Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 12 mai 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 10 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments.

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

- La drépanocytose (association de décitabine et tétrahydrouridine)
- Le déficit en hormone de croissance (Ibutamoren mesilate),
- L'hémophilie B (facteur IX recombinant),
- L'hernie diaphragmatique congénitale (sildenafil)
- La sclérose tubéreuse (sirolimus)
- L'hyperinsulinisme congénital (analogue synthétique du glucagon),
- L'acidose tubulaire rénale distale (association de carbonate et de citrate de potassium),
- L'épidermolyse bulleuse (peptide),
- La glomérulopathie à C3 (avacopan),
- La maladie de Creutzfeld Jacob (thiophene pentamer).

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- **Besponsa** (inotuzumab ozogamicin) dans le traitement de la leucémie aiguë lymphoblastique de type B
- **Brineura** (cerliponase alfa) dans le traitement de la céroïde-lipofuscinose neuronale de type 2
- **Spinraza** (nusinersen) dans le traitement de l'amyotrophie spinale de type 5q.

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 (Mai 2017) - Site EMA
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour 11 nouveaux médicaments : retour sur la réunion d'avril 2017 du CHMP (09/05/2017) - 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.