Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 12 juin 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 des avis favorables pour 16 désignations de médicaments orphelins et a recommandé le maintien du statut d'orphelin de 2 médicaments.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 16 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- **L'amylose AL** (carboxy pyrrolidine hexanoyl pyrrolidine carboxylate, anticorps monoclonal recombinant anti composant amyloïde P sérique humain),
- **Le m yélome à plasmocytes** (marizomib),
- **L'infection nécrosante des tissus mous** (sel d'acétate de sodium du peptide H-D-Ala-Ser-Pro-Met-Leu-Val-Ala-Tyr-Asp-D-Ala-OH),

- **La tachycardie ventriculaire polymorphe cathecolaminergique** (vecteur viral adéno-associé de sérotype 9 contenant le gène humain de la calsequestrine cardiaque),

- **Le cancer de l'ovaire** (cédiranib),
- **La maladie de Huntington** (cystéamine bitartrate),
- **La myasthénie acquise** (éculizumab),
- **La fibrose pulmonaire idiopathique** (anticorps monoclonal humanisé anti-alpha v beta 6),
- **Le gliome** (anticorps monoclonal recombinant humanisé anti-récepteur de l'EGF associé au maleimidocaproyl monomethyl auristatine),
- **Le syndrome de Prader-Willy** (ocytocine),
- **La béta-thalassémie intermédiaire et majeure** (protéine de fusion recombinante comprenant une forme modifiée du domaine extracellulaire du récepteur IIB humain activin associé au domaine humain IgG1 Fc),
- **Le cancer de l'estomac** (rilotumumab),
- **La sclérodermie systémique** (riociguat),
- **L'hémophilie B** (oligonucleotide synthétique double-brin siRNA dirigé contre l'antithrombine mRNA lié au ligand contenant 3 résidus du N-acetylgalactosamine),

- **L'hémophilie A** (oligonucleotide synthétique double-brin siRNA dirigé contre l'antithrombine mRNA lié au ligand contenant 3 résidus du N-acetylgalactosamine).

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

- Gazyvaro (obinutuzumab) dans le traitement de la leucémie lymphoïde chronique
- Translarna (ataluren) dans une forme de la myopathie de Duchenne.

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 qui établit des critères pour désigner un médic

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation (13/06/2014) -Communiqué COMP
- Retour sur la réunion de mai 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments (28/05/2014) - 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.