Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 02 au 04 septembre 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 19 désignations de médicaments orphelins et le maintien du statut orphelin d'un médicament.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 19 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Le pemphigus ((S)-2-(1-((6-amino-5-cyanopyrimidin-4-yl)amino)ethyl)-4-oxo-3-phenyl-3,4-dihydropyrrolo[2,1-f][1,2,4]triazine-5-carbonitrile)
- Le syndrome de Leigh ((S)-6-hydroxy-2,5,7,8-tetramethyl-N-((R)-piperidin-3-yl)chroman-2-carboxamide hydrochloride)
- Le syndrome de Dravet (Cannabidiol)
- Le déficit en cellules souches limbiques (cellules souches limbiques de cornée allogénique cultivées)
- La cystinose (Cystéamine hydrochloride)
- Le cancer du pancréas (Anticorps conjugué au SN38)
- Le syndrome de Cushing (Osilodrostat)
- Le syndrome de l'intestin court (*Oxalobacter formigenes* espèce HC-1)
- Les tumeurs à cellules géantes ténosynoviales localisées et diffuses (Anticorps monoclonal recombinant humanisé de classe IgG1/ kappa anti M-CSF humain)
- Le syndrome du X fragile ((3S)-(+)-(5-chloro-2-methoxyphenyl)-1,3-dihydro-3-fluoro-6-(trifluoromethyl)-2H-indol-2-one ; Acamprosate calcium)
- Le syndrome de Crigler-Najjar (vecteur viral adéno-associé de sérotype 8 contenant le gène humain UGT1A1)
- L'hyperinsulinisme congénital (Glucagon)
- La mucoviscidose (Monoxyde d'azote)
- Le déficit en pyridoxamine 5'-phosphate oxydase (phosphate 5' de pyridoxal)
- La maladie du charbon (Raxibacumab)
- Le gliome (protéine 4 ostéogénique humaine recombinante)
- La mucopolysaccharidose de type I (Anticorps monoclonal recombinant humain au récepteur à l'insuline fusionné à l'alpha-L-iduronidase)
- L'hypophosphatémie liée à l'X (Anticorps monoclonal recombinant humain de type

IgG1 anti FGF 23)

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 :

- Imbruvica (ibrutinib) dans le traitement du lymphome du manteau et la leucémie lymphoïde chronique.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, établi par le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères pour désigner un méd

Lire aussi

- Communiqué du COMP de septembre 2014 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de juillet 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information (01/08/2014)

[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.