Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 17 au 19 janvier 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 19 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

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

- Le lymphome B diffus à grandes cellules (médicament chimique),
- Le syndrome de Dravet (oligonucléotide antisense),
- Le syndrome du X fragile (association d'alpha-tocophérol et d'acide ascorbique),
- La dyskinésie ciliaire primitive (médicament chimique),
- Le syndrome de Lennox-Gastaut (fenfluramine hydrochloride),
- Le cancer de l'estomac (médicament chimique),
- Le syndrome de la bronchiolite oblitérante (protéine recombinante),
- La mucoviscidose (association de tezacaftor et d'ivacaftor),
- La dystrophie musculaire des ceintures (protéine),
- Le myélome multiple (thérapie génique),
- L'épidermolyse bulleuse (thérapie génique),
- Le cancer du pancréas (anticorps monoclonal),
- Le syndrome myélodysplasique (anticorps monoclonal),
- Le neuroblastome (anticorps monoclonal radiomarqué),
- La maladie de Von Hippel-Lindau (propranolol hydrochloride),
- L'achondroplasie (FGFR3 recombinant),
- La sclérose latérale amyotrophique (acide tauroursodeoxycholique),
- La télangiectasie hémorragique héréditaire (thalidomide),
- La maladie d'Erdheim Chester (vemurafénib).

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 :

- **LEDAGA (chlorméthine)** dans le traitement du lymphome T cutané
- **Chenodeoxycholic acid sigma-tau (acide chénodéoxycholique)** dans le traitement

des déficits de synthèse des acides biliaires primaires.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» (cf. le Règlement (CE) N° 141/2000 du 16 décembre 1999) font l'objet de mesures d'incitation spécifiques, établies par le règlement susmentionné, pour encourager la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies graves rares ou de maladies graves qui ne peuvent pas être traitées de manière satisfaisante.

Lire aussi

- Communiqué du COMP de janvier 2017 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour dix nouveaux médicaments : retour sur la réunion de septembre 2016 du CHMP - Point d'Information (28/09/2016)
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour sept nouveaux médicaments : retour sur la réunion de décembre 2016 du CHMP - Point d'information (26/12/2016)

[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.