Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 17 au 19 mars 2015 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 15 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 15 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Cryptococcocose (médicament chimique)
- Tularémie (médicament chimique)
- Maladie de Stargardt (Ecothiophate iodure),
- Diagnostic du gliome (^{18} F Fluciclovine)
- Cancer du pancréas (virus oncolytique)
- Lymphome de la zone marginale (Lenalidomide)
- Prévention du rejet du greffon après transplantation d'organe solide (anticorps monoclonal recombinant)
- Myopathie de Duchenne (Rimeporide)
- Ebola (Rintatolimod)
- Choroïdéremie (thérapie génique)
- Mucoviscidose (oxyde nitrique)
- Maladie de Huntington (médicament chimique)
- Rétinite pigmentaire (facteur neurotrophique)
- Neuroblastome (Sodium 2-hydroxylinoleate)
- Asphyxie périnatale (Xenon)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" bénéficient, au titre du Règlement (CE) N° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins, de mesures d'incitation spécifiques, notamment des critères de désignation de maladie

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation - Site EMA

[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.