Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 14 au 16 juillet 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 ainsi qu'un avis favorable pour le maintien du statut orphelin de 4 médicaments .

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 15 médicaments développés dans les 14 maladies rares suivantes :

- Syndrome de Rett (médicament chimique)
- Ostéogénèse imparfaite (thérapie cellulaire)
- Syndrome de l'intestin court (insuline humaine)
- MELAS (association d'encéphalomyopathie mitochondriale, d'acidose lactique et accidents ischémiques cérébraux) (médicament chimique)
- Carcinome hépatocellulaire (médicament chimique)
- Lymphome B diffus à grandes cellules (médicament chimique)
- Myopathie myotubulaire liée à l'X (thérapie génique)
- Mucopolysaccharidose de type II (syndrome de Hunter) (thérapie génique)
- Leucémie aiguë lymphoblastique (thérapie cellulaire)
- Leucémie aiguë myéloïde (anticorps anti CD33 associé à la pyrrolobenzodiazépine)
- Syndrome d'irradiation aiguë (sphères d'albumine recouvertes de fibrinogène)
- Mucoviscidose (association fixe de fosfomycine disodium et de tobramycine ; céramidase acide humaine recombinante)
- Lymphome de la zone marginale (ibrutinib)
- Hyperplasie surrénale congénitale (verucerfont)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 4 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- Farydak (panobinostat) pour le traitement du myélome multiple
- Kanuma (sebelipase alfa) pour le traitement du déficit en lipase acide lysosomale
- Raxone (idebenone) pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber

- Strensiq (asfotase alfa) pour le traitement de l'hypophosphatasie

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladi

le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères spécifiques

Lire aussi

- Communiqué du COMP de juillet 2015 sur le site de l'Agence européenne des médicaments

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.