Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 14 au 16 juin 2016 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 22 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins.

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

- La fibrose pulmonaire idiopathique (médicament chimique)
- La rétinite pigmentaire (thérapie génique)
- La pemphigoïde bulleuse (dimethyl fumarate)
- L'hyperargininémie (dérivé de l'Arginase I humaine ; sodium benzoate)
- La lymphangioléiomyomatose sporadique (sirolimus)
- Le sarcome des tissus mous (oligonucléotide ; immunothérapie)
- La maladie de Huntington (médicament chimique)
- Le lymphome NK/T extranodulaire type nasal (thérapie cellulaire)
- La maladie lymphoprolifération post-transplantation (thérapie cellulaire)
- L'infection à adénovirus chez les patients immunodéprimés (brincidofovir)
- L'échinococcose (mifamurtide)
- Le carcinome hépatocellulaire (mifamurtide)
- L'hyperinsulinisme congénital (anticorps monoclonal anti récepteur à l'insuline)
- Le déficit en pro-opiomélanocortine (setmelanotide)
- Le déficit en carbamoyl-phosphate synthétase I (sodium benzoate)
- La citrullinémie de type 1 (sodium benzoate)
- Le déficit en ornithine transcarbamylase (sodium benzoate)
- Les brûlures profondes du deuxième degré et du troisième degré (sodium hypochlorite)
- La maladie de McArdle (triheptanoine)
- La lipodystrophie partielle familiale (volanesorsen sodium)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" sont définis au titre du Règlement (CE) N° 141/2000 comme étant ceux qui répondent aux critères pour désigner une maladie

Lire aussi

- Communiqué du COMP de juin 2016 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.