Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 03 au 04 novembre 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 14 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments.

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

- Le cancer de l'estomac (avelumab)
- La rétinite pigmentaire (thérapie génique)
- La maladie du greffon contre l'hôte (arsenic trioxyde)
- Les tumeurs à cellules géantes ténosynoviales (cabiralizumab)
- Le sarcome des tissus mous (propranolol)
- Les tumeurs stromales gastro-intestinales (médicament radiopharmaceutique)
- L'achromatopsie (thérapie génique)
- Le syndrome de Wolfram (dandrolene sodium)
- La sclérose latérale amyotrophique (ibudilast)
- La leucémie aigüe myéloïde (ivosidenib)
- L'épilepsie myoclonique progressive type 2 (maladie de Lafora) (metformine)
- Le cancer du pancréas (interleukine 10 recombinante)
- La céroïde-lipofuscinose neuronale (thérapie génique)
- La malformation cardiaque congénitale avec un seul ventricule fonctionnel (udenafil).

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 3 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- **Somakit-TOC (edotreotide)** pour le diagnostic des tumeurs neuroendocrines gastro-entéro-pancréatiques
- **Venclyxto (venetoclax)** dans le traitement de la leucémie lymphoïde chronique
- **Ocaliva (acide obéticholique)** dans le traitement de la cirrhose biliaire primitive.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies le Règlement (CE) n° 141/2000 qui établit des critères pour désigner un médic

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP)meeting report on the review of applications for orphan designation - November 2016 - Site EMA
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour huit nouveaux médicaments : retour sur la réunion d'octobre 2016 du CHMP

[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.