Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 08 au 10 juillet à Londres. Ce Comité est chargé d'examiner les demandes de désignations 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 des avis favorables pour 27 désignations de médicaments orphelins et un avis défavorable pour un médicament.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 27 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- **La maladie de Fabry**
((3S)-1-azabicyclo[2.2.2]oct-3-yl{2-[2-(4-fluorophenyl)-1,3-thiazol-4-yl]propan-2-yl}carbamate)

- **La myopathie de Duchenne**
(17α,21-dihydroxy-16α-methyl-pregna-1,4,9(11)-triene-3,20-dione)

- **Le syndrome de Schnitzler** (gevokizumab)
- **La mucoviscidose** (association de lumacaftor et d'ivacaftor à dose fixe)
- **Le déficit congénital en facteur VII** (facteur VIIa recombinant modifié avec 3 séquences terminales de la gonadotropine chorionique humaine β)

- **L'hémophilie A** (facteur VIIa recombinant modifié avec 3 séquences terminales de la gonadotropine chorionique humaine β)
- **L'hémophilie B** (facteur VIIa recombinant modifié avec 3 séquences terminales de la gonadotropine chorionique humaine β)
- **Le syndrome myélodysplasique** (Protéine de fusion recombinante consistant en une forme modifiée du domaine extracellulaire du récepteur IIB de l'activine humaine qui se lie au domaine Fc de l'IgG1 humaine)
- **Le déficit en apolipoprotéine A-I** (complexe d'apolipoprotéine A-I recombinante humaine et de phospholipides)
- **Le déficit du transporteur à ATP-binding cassette A1** (complexe d'apolipoproteine A-I recombinante humaine et de phospholipides)

- **La dysplasie bronchopulmonaire** (rétinol)
- **La polykystose hépatique autosomique dominante** (ascorbate de sodium et bisulfite de ménadione de sodium)
- **La pancréatite aiguë** (ulinastatin)
- **Le cancer du poumon à petites cellules**
(2-(2-methyl-5-nitro-1H-imidazol-1-yl)ethylsulfamide)

- **La leucémie aiguë myéloïde**
(4-{[(2R,3S,4R,5S)-4-(4-chloro-2-fluoro-phenyl)-3-(3-chloro-2-fluoro-phenyl)-4-cyano-5-(2,2-dim

ethyl-propyl)-pyrrolidine-2-carbonyl]-amino}-3-methoxy-benzoic acid ;
(Z)-3-(3-(3,5-bis(trifluoromethyl)phenyl)-1H-1,2,4-triazol-1-yl)-N'-(pyrazin-2-yl)acrylohydrazide)

- **Le syndrome de Crigler-Najjar** (vecteur viral adeno-associé de sérotype 8 contenant le gène humain UGT1A1)
- **Le lymphome T cutané** (anticorps monoclonal humanisé IgG1 anti KIR3DL2 humain)
- **Le déficit en pyruvate kinase** (vecteur lentiviral contenant le gène humain de la pyruvate kinase (PKLR)) hépatique et érythrocytaire)
- **La prévention des lésions d'ischémie-reperfusion associée à la transplantation d'organe solide** (conjugué macromoléculaire de l'héparine sodique et de polymère)
- **Le lymphome B diffus à grandes cellules** (Obinutuzumab ;
(Z)-3-(3-(3,5-bis(trifluoromethyl)phenyl)-1H-1,2,4-triazol-1-yl)-N'-(pyrazin-2-yl)acrylohydrazide)

- **La mastocytose** (diamine oxydase recombinante humaine)
- **L'hémoglobinurie paroxystique nocturne**
(S3,S13-cyclo(D-tyrolsyl-L-isoleucyl-L-cysteinyl-L-valyl-1-methyl-L-tryptophyl-L-glutaminyl-L-aspartyl-L-tryptophyl-N-methyl-L-glycyl-L-alanyl-L-histidyl-L-arginyl-L-cysteinyl-N-methyl-L-isoleucinamide)
- **La cirrhose biliaire primitive** (variant du facteur 19 de croissance des fibroblastes humain recombinant)
- **L'encéphalomyopathie mitochondriale neurogastrointestinale** (produit de thérapie génique contenant le gène humain TYMP)

- **Le cancer du pancréas**
([5-amino-1-(4-fluoro-phenyl)-1H-pyrazol-4-yl]-[3-(2,3-dihydroxy-propoxy)-phenyl]-methanone).

Le COMP a également rendu un avis défavorable pour la désignation médicament orphelin d'un médicament dans la polykystose rénale autosomique dominante.

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" sont définis au niveau européen par le règlement (CE) N° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins. Ce règlement a pour objectif de promouvoir la recherche, le développement et la mise à disposition de médicaments destinés à diagnostiquer, prévenir ou traiter des maladies graves ou rares, c'est-à-dire touchant moins de 5 personnes sur 10 000 dans l'Union européenne.

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation (22/07/2014) -Communiqué COMP
- Retour sur la réunion de juin 2014 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments (03/07/2014) - Point d'Information