Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 16 au 18 juin 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 21 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins ainsi qu'un avis favorable pour le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 21 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Grippe aviaire (immunoglobuline équine anti H5N1),
- Hépatoblastome (doxorubicine)
- Déficit en plasminogène (plasminogène humain)
- Polykystose rénale autosomique dominante (lanréotide acétate)
- Lymphome T cutané (hypéricine synthétique)
- Leucémie aiguë myéloïde (médicament chimique ; inecalcitol)
- Rétinite pigmentaire (thérapie génique)
- Myopathie de Duchenne (thérapie cellulaire)
- Paludisme (artesunate)
- Craniopharyngiome (béloranib)
- Asphyxie périnatale (cannabidiol)
- Syndrome du X fragile (médicament chimique)
- Paralysie supranucléaire progressive (anticorps monoclonal)
- Sclérose latérale amyotrophique (médicament chimique)
- Cancer du pancréas (thérapie génique)
- Syndrome de Rett (sarizotan hydrochloride)
- Hyperoxalurie primitive (médicament chimique)
- Déficit en carnitine palmitoyltransférase II (triheptanoine)
- Déficit en 3-hydroxyacyl-CoA déshydrogénase des acides gras à chaîne longue (triheptanoine)
- Déficit en protéine trifonctionnelle mitochondriale (triheptanoine)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP :

pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché

- Unituxin (dinutuximab) pour le traitement du neuroblastome.

pour une extension d'indication

- Imbruvica (ibrutinib) pour le traitement de la macroglobulinémie de Waldenström

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies rares, graves ou entraînant une menace pour la vie et dont la prévalence ne dépasse pas 5 cas sur 10 000 personnes dans l'Union Européenne. Les entreprises pharmaceutiques sont peu enclines à développer ces médicaments dans les conditions normales de marché, leur coût de mise sur le marché ne pouvant être compensé par les ventes escomptées en l'absence de mesure d'incitation. Ainsi, a été adopté le Règlement (CE) N° 141/2000
qui établit des critères pour désigner un médicament orphelin et prévoit des mesures d'incitations spécifiques dont notamment une exclusivité commerciale, une assistance à l'élaboration de protocoles et des exonérations de redevance.

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.