Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 12 février 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 un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 22 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- le syndrome d'Alport (oligonucléotide modifié)
- le syndrome de Netherton (médicament chimique)
- la maladie du greffon contre l'hôte (médicament biologique),
- la prévention de la dysplasie broncho-pulmonaire (protéine CC10 recombinante)
- le syndrome de l'X fragile (tidéglusib)
- les tumeurs à cellules géantes ténosynoviales localisées ou diffuses (médicament chimique)
- le cancer des voies biliaires (médicament chimique)
- la maladie de Gaucher (médicament de thérapie génique),
- la sclérodermie systémique (médicament de thérapie cellulaire),
- la maladie de Huntington (oligonucléotide modifié)
- la sclérose latérale amyotrophique (enoxacin),
- l'épidermolyse bulleuse (3 médicaments de thérapie génique),
- les tumeurs neuroendocrines digestives (Gallium (68Ga)-edotreotide),
- le cancer de l'ovaire (2 médicaments : réovirus humain de type 3 ; anticorps monoclonal conjugué),
- le carcinome hépatocellulaire (lenvatinib)
- le myélome plasmocytaire (melphalan flufenamide),
- la cholangite sclérosante primitive (anticorps monoclonal conjugué)
- la rétinite pigmentaire (médicament chimique)
- la maladie de Wilson (trientine tetrahydrochloride)

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

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) meeting report on the review of

applications for orphan designation - February 2015 -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.