Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 14 au 16 avril 2015 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 13 avis favorables et un avis défavorable pour la désignation de médicaments orphelins.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 13 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Cancer de l'ovaire (médicament chimique)
- Maladie de Huntington (peptide P42 ; médicament chimique)
- Mucopolysaccharidose type IIIC ou maladie de Sanfilippo type C (thérapie génique)
- Myasthénie auto-immune (protéine de fusion)
- Myélome multiple (héparine modifée)
- Uvéite non infectieuse (Triamcinolone acetonide)
- Mucoviscidose (médicament chimique)
- Thromboangéite oblitérante ou maladie de Buerger) (thérapie cellulaire)
- Asphyxie périnatale (Allopurinol sodium)
- Lymphome B diffus à grandes cellules (anticorps monoclonal anti-CD37 conjugué)
- Dystrophie musculaire oculo-pharyngée (Trehalose)
- Syndrome du déficit en transporteur du glucose de type 1 (Triheptanoine)

Le COMP a également rendu un avis défavorable pour la désignation médicament orphelin d'un médicament développé dans la maladie rare suivante :

- Leucémie lymphoïde chronique/ Lymphome lymphocytique

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont définis au niveau européen par le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit les critères pour la désignation de médicaments

Lire aussi

- Communiqué du COMP d'avril 2015 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.