Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 1er au 3 septembre 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 20 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins ainsi qu'un avis favorable pour le maintien du statut orphelin d'un médicament.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 20 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- Lymphome à cellules du manteau (thérapie cellulaire)
- Lymphome B médiastinal primitif à grandes cellules (thérapie cellulaire)
- Hémorragie subarachnoïdienne anévrismale (nimodipine)
- Envenimation par morsure de Vipera berus (immunoglobulines spécifiques)
- Angio-oedème héréditaire (anticorps monoclonal anti-kallikréine)
- Surcharge en fer chronique nécessitant un traitement chélateur (hepcidine synthétique)
- Rejet hyper aigu de greffe (médicament chimique)
- Sclérodermie systémique (médicament chimique)
- Carcinome hépatocellulaire (médicament chimique)
- Fibrose pulmonaire idiopathique (médicament chimique)
- Purpura thrombocytopénique auto-immun (protéine A de Staphylococcus aureus purifiée)

- Aniridie (ataluren)
- Gliome (association de dronabinol et de cannabidiol)
- Narcolepsie (mazindol)
- Dystrophie musculaire de Duchenne (médicament chimique)
- Achromatopsie due à des mutations du gène CNGA3 (thérapie génique)
- Leucémie aiguë myéloïde (toxine diphtérique-interleukine 3)
- Sclérose tubéreuse de Bourneville (Sirolimus)
- Fièvre Ebola (anticorps monoclonaux anti Ebola (espèce Zaire))
- Leucémie lymphoïde chronique/ lymphome lymphocytaire à petites cellules (thérapie cellulaire)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin d'un médicament ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché de Cresemba (isavuconazole) pour le traitement :

- de l'aspergillose invasive,
- de la mucormycose

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladi[illegible] Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères pour désigner un médicament

Lire aussi

- Communiqué du COMP de septembre 2015 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de juillet 2015 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information (30/07/2015)

[1] Ladésignation de médicament orphelin n'équivaut pas à une recommandationd'utilisation de ce médicament pour l'affection désignée car elle ne signifienullement que ce médicament satisfera aux critères d'efficacité, de toléranceet 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 quelorsque le dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché aura été soumis.