Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 6 au 8 octobre 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 16 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins ainsi que 9 avis favorables pour le maintien du statut orphelin de 4 médicaments.

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

- Glomérulosclérose segmentaire focale (médicament chimique)
- Leucémie lymphoblastique aiguë (thérapie cellulaire)
- Leucémie lymphoïde chronique/ lymphome lymphocytaire à petites cellules (thérapie cellulaire)
- Carcinome nasopharyngé (azacitidine)
- Maladie du greffon contre l'hôte (protéine de fusion)
- Syndrome respiratoire du Moyen-Orient (interferon alfa-n3)
- Hypersomnie idiopathique (pentetrazol)
- Tumeur à cellules plasmacytoïdes dendritiques blastiques (protéine de fusion)
- Cancer de l'ovaire (médicament chimique)
- Maladie de Wilson (thérapie génique)
- Amaurose congénitale de Leber (thérapie génique)
- Achromatopsie due à une mutation du gène CNGB3 (thérapie génique)
- Lymphome folliculaire (thérapie cellulaire)
- Leucémie aiguë myéloïde (anticorps monoclonal anti CD47)
- Neuroblastome (médicament chimique)
- Déficit en pyruvate déshydrogénase (sodium phenylbutyrate)

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 4 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- BLINCYTO (blinatumomab) dans le traitement de la leucémie aigue lymphoblastique ,
- KOLBAM (acide cholique) dans le traitement des anomalies congénitales de synthèse des acides biliaires
- KYPROLIS (carfilzomib) dans le traitement du myélome multiple

- RAVICTI (glyceryl tri-(4-phenylbutyrate)) dans le traitement de
- L'acidurie argininosuccinique,
- Du déficit en carbamoyl-phosphate synthase-1,
- De la citrullinémie de type 1
- De l'hyperargininémie,
- Du déficit en ornithine carbamoyltransferase,
- Du déficit en ornithine translocase (syndrome d'hyperornithinémie-hyperammoniémie homocitrullinurie)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments « orphelins » sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladi

Lire aussi

- Communiqué du COMP d'octobre 2015 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Retour sur la réunion de septembre 2015 du Comité des médicaments à usage humain de l'Agence européenne des médicaments - Point d'Information

[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.