Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 10 au 12 novembre 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 17 avis favorables pour la désignation de médicaments orphelins.

Le COMP a rendu un avis favorable pour la désignation médicaments orphelins de 17 médicaments développés dans les maladies rares suivantes :

- La maladie du greffon contre l'hôte (médicament chimique)
- La leucémie aiguë myéloïde (Combretastatin A1 diphosphate ; médicament chimique)
- La kératite neurotrophique (facteur de croissance recombinant du tissu nerveux humain)
- Les tumeurs neuroendocrines gastro-entéro-pancréatiques (médicament chimique)
- La beta thalassémie majeure et intermédiaire (sirolimus)
- La cholangite sclérosante primitive (variant du facteur de croissance des fibroblastes 19 humains recombinants)
- La maladie de Charcot-Marie-Tooth (médicament chimique)
- Le pseudohypoaldostéronisme type 1B (2 médicaments chimiques)
- L'hémophilie B (thérapie génique
- Brûlure profonde du deuxième degré et brûlure du troisième degré (peau issue de bioingénierie)
- Le diabète néonatal (glibenclamide)
- La myélofibrose (imetelstat sodium)
- L'ostéosarcome (immunothérapie antitumorale)
- Le mésotheliome malin (immunothérapie antitumorale)
- Le carcinome à cellules de Merckel (anticorps monoclonal anti PDL1)

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

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

le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères pour la désignation de médic

Lire aussi

- Communiqué du COMP de novembre 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.