Le **Comité des médicaments orphelins** (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du **16 au 18 février 2016** 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 ainsi que 2 avis favorables pour le maintien du statut orphelin de 2 médicaments.

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

- La leucémie lymphoïde chronique/ lymphome lymphocytaire à petites cellules (acalabrutinib)
- Le syndrome lymphoprolifératif post-greffe ÂÂ (thérapie cellulaire)
- Le lymphome T cutané (fenretinide)
- Le sarcome des tissous mous (2 immunothérapies)
- Le diagnostic du carcinome hépatocellulaire (acide florilglumatique (^{18} F))
- Le diagnostic du gliome (acide florilglumatique (^{18} F))
- Les tumeurs neuroendocrines gastro entéro pancréatiques (fosbretabulin tromethamine)
- L'hyperoxalurie primitive (médicament chimique)
- L'hypertension artérielle pulmonaire (ubenimex)
- Le lymphome lymphoplasmocytaire (acalabrutinib)
- Le lymphome du manteau (acalabrutinib)
- L'hémophilie A (thérapie génique)
- Le déficit en ornithine transcarbamylase (thérapie génique)
- Le cancer de l'œsophage (hémoglobine modifiée)
- L'hypertension intracrânienne idiopathique (exenatide)
- La myopathie de Nonaka (médicament chimique).

Le COMP a également recommandé le maintien du statut orphelin de 2 médicaments ayant obtenu un avis favorable du CHMP pour l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché :

- WAKIX (pitolisant) dans le traitement de la narcolepsie,
- COAGADEX (facteur X humain) dans le déficit héréditaire en facteur X

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments «orphelins» sont destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie le Règlement (CE) N° 141/2000 qui établit des critères

Lire aussi

- Communiqué du COMP de février 2016 sur le site de l'Agence européenne des médicaments
- Communiqués du CHMP de novembre 2015
- Communiqué du CHMP de janvier 2016

[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.