Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments s'est réuni du 14 au 15 mars 2017 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 10 avis favorables et recommandé le maintien du statut orphelin d'un médicament.

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

- Le syndrome du X fragile (médicament chimique),
- L'hypertension artérielle pulmonaire (médicament chimique),
- Le traitement de la transplantation d'organe solide (rituximab, immunoglobuline humaine normale),
- Le syndrome d'Asherman (thérapie cellulaire),
- L'encéphalopathie néonatale (estetrol),
- Le myélome multiple (immunothérapie),
- La prévention de la toxicité au mercure (emeramide),
- Le déficit en ornithine transcarbamylase (ARN messager codant pour l'ornithine transcarbamylase),
- Le syndrome de déplétion de l'ADN mitochondrial (association de thymidine et de deoxycitidine).

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 :

- **NATPAR** (hormone parathyroïde) dans le traitement de l'hypoparathyroïdie

Les médicaments orphelins bénéficient de mesures d'incitation spécifiques

Les médicaments "orphelins" bénéficient de mesures d'incitation, qui ont été prévues par le Règlement (CE) N° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins. Ce texte définit les critères pour la désignation de maladies

Lire aussi

- Committee for Orphan Medicinal ProductsÂÂÂ (COMP) meeting report on the review of applications for orphan designation (March 2017) Site EMA
- Avis favorable pour l'octroi d'une AMM pour six nouveaux médicaments : retour sur la réunion de février 2017 du CHMP (14/03/2017)- 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.