

# Comités de l'EMA : Comité des médicaments orphelins (COMP)

## Introduction

Le Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) examine les demandes de « désignations de médicaments orphelins », reconnaissant un médicament comme étant développé pour le diagnostic, la prévention ou le traitement de maladies rares. La désignation de médicament orphelin confère des avantages spécifiques en termes de développement. Le présent article contient davantage d'informations sur les maladies rares, ainsi que sur les concepts réglementaires et la législation qui régissent les activités du COMP.

## Comité des médicaments orphelins (COMP) de l'EMA

Les médicaments orphelins sont destinés aux maladies rares.

Les maladies rares sont des affections chroniques (maladies à long terme ayant un impact significatif sur la vie quotidienne) ou potentiellement mortelles. Elles ne touchent pas plus de 5 personnes sur 10 000 dans l'UE, ce qui signifie qu'approximativement 30 millions de personnes dans l'UE souffrent d'une maladie rare.

Les symptômes (signes) de certaines maladies rares peuvent apparaître à la naissance ou pendant l'enfance (par exemple, l'atrophie musculaire rachidienne [AMR]) tandis que d'autres peuvent apparaître à l'âge adulte (par exemple, la leucémie myéloïde aiguë [LAM]). Dans 80 % des cas, les maladies rares se caractérisent par des mécanismes dégénératifs (impliquant

la détérioration de la structure ou de la fonction des tissus) et/ou prolifératifs (impliquant une production cellulaire rapide). La « cause » des maladies rares est généralement génétique.

La compréhension médicale et scientifique des maladies rares est encore limitée. Un grand nombre de maladies rares sont toujours insuffisamment décrites.

Pour encourager la recherche et le développement de traitements contre les maladies rares, une législation a été introduite dans l'UE (CE 141/2000)<sup>1</sup>, comprenant un certain nombre d'incitations destinées aux entreprises qui choisissent de développer des médicaments orphelins.

Cette nouvelle législation a été couronnée de succès. Lors des cinq premières années de mise en application, 458 demandes de désignations de médicaments orphelins ont été déposées.

Les principaux domaines thérapeutiques concernés par des médicaments orphelins étaient les suivants :

- Le cancer
- Les troubles métaboliques (troubles qui affectent le métabolisme, c'est-à-dire les réactions chimiques de l'organisme)
- L'immunologie (troubles du système immunitaire)
- Les troubles cardiovasculaires (troubles cardiaques)
- Les troubles respiratoires (troubles concernant les poumons et les structures associées)

## **Concepts réglementaires et législation applicable**

Depuis 2000, les demandes d'AMM pour les médicaments orphelins dans l'UE doivent faire l'objet d'une procédure centralisée (CP).

Une demande de désignation de médicament orphelin (qui est gratuite) peut être effectuée à tous les stades du développement du médicament. Cependant, la demande de désignation de médicament orphelin doit être effectuée avant le dépôt de demande d'AMM auprès de l'EMA.

Pour obtenir la désignation de médicament orphelin, un médicament doit satisfaire à un certain nombre de critères :

- Il doit être destiné au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie qui est potentiellement mortelle ou chroniquement invalidante
- La prévalence de la maladie dans l'UE ne doit pas être supérieure à 5 pour 10 000 ou il doit être improbable que la commercialisation du médicament génère des revenus suffisants pour justifier l'investissement nécessaire à son développement
- Il ne doit pas exister de méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de la maladie, ou si une telle méthode existe, le médicament doit apporter un bénéfice significatif aux patients concernés

Dans le cadre d'une demande de désignation de médicament orphelin, des données préliminaires non cliniques et/ou cliniques (preuve du concept) sont généralement exigées. Il est possible de déposer une demande de désignation de médicament orphelin pour un médicament déjà autorisé, si la demande de désignation concerne une nouvelle indication orpheline qui n'est pas encore autorisée.

Les demandes de désignation orpheline sont examinées par le COMP de l'EMA qui fait appel à un réseau d'experts de l'UE. Le COMP a été créé en 2000 ; c'était le premier comité comptant parmi ses membres des représentants de patients ayant les mêmes droits que les autres membres. Les représentants de patients sont nommés par la Commission européenne. La liste détaillée des membres du COMP peut être consultée sur le site

Internet de l'EMA.

Lorsqu'un laboratoire pharmaceutique obtient une désignation de médicament orphelin, il bénéficie d'un certain nombre d'incitations, dont :

- Réduction des frais d'assistance au protocole (conseil scientifique spécifique pour les médicaments désignés orphelins)
- Exclusivité de commercialisation pendant 10 ans à compter de l'obtention de l'AMM ; les autres laboratoires pharmaceutiques n'ont pas le droit de commercialiser un médicament similaire pendant les 10 années qui suivent l'autorisation
- Réduction également possible des frais de demande d'AMM
- Éligibilité potentielle à des subventions de l'UE et à des programmes et initiatives de recherche et développement des différents États membres.

Les promoteurs doivent fournir à l'EMA un rapport annuel résumant le stade de développement du médicament.

Si le médicament orphelin est un traitement innovant, une demande doit également être déposée auprès du Comité des médicaments de thérapie innovante (Committee for Advanced Therapies, CAT) pour qu'il soit reconnu comme tel.

Lorsque le développement d'un médicament est terminé, les demandes d'AMM sont évaluées par le Comité des médicaments à usage humain (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP). Lorsque le CHMP donne un avis favorable, si le médicament est désigné comme médicament orphelin, le dossier est renvoyé au COMP. Ceci permet au comité de déterminer si les critères sont toujours valides et si le produit maintient son statut de médicament orphelin.

La liste complète des médicaments orphelins adoptée par l'UE peut être consultée dans le Registre communautaire.<sup>2</sup>

L'EMA encourage les demandes parallèles de désignation de médicament orphelin auprès des autorités réglementaires hors de l'UE et a des accords spéciaux avec les agences réglementaires des États-Unis et du Japon. Une demande unique a été conçue à cet effet.

## Ressources complémentaires

- Commission européenne (2015). *Produits pharmaceutiques orphelins*. Consulté le 3 septembre 2015 sur <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines>
- Agence européenne des médicaments (2013). *EMA/272219/2013 Sixth annual report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2012)*. Consulté le 3 septembre 2015 sur [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2013/12/WC500158365.pdf)

## Références

1. European Parliament (2000). *Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products*. Retrieved 3 September, 2015 from <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>
2. European Commission (2015). *Register of designated Orphan Medicinal Products*. Retrieved 3 September, 2015 from <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1441289843912&uri=CELEX:32000R0141>

## Annexes

- Fiche de données : Résumé des concepts

réglementaires et de la législation, et rôle des associations de patients

Size: 99,403 bytes, Format: .docx

Cette fiche de données présente les différents concepts réglementaires et la législation associée aux produits pharmaceutiques spéciaux, et fournit des informations sur le rôle des associations de patients dans ces processus réglementaires.

A2-5.08.2-v1.1